Zorginstituut Nederland

> Retouradres Postbus 320, 1110 AH Diemen

Aan de Minister van Volksgezondheid,
Welzijn en Sport
Postbus 20350
2500 EJ DEN HAAG

Zorginstituut Nederland
Pakket

Eekholt 4
1112 XH Diemen
Postbus 320
1110 AH Diemen
www.zorginstituutnederland.nl
info@zinl.nl

T +31 (0)20 797 89 59

Contactpersoon

0530.2015044368

Onze referentie
2015044368

Datum 20 april 2015
Betreft Voorwaardelijke toelating tot het basispakket 2016

Geachte mevrouw Schippers,

Graag bied ik u hierbij het advies over voorwaardelijke toelating tot het basispakket 2016 aan.

In dit rapport adviseren wij u om de volgende drie veelbelovende interventies aan te merken als potentiële kandidaten voor voorwaardelijke toelating:

- occipitale neurostimulatie voor de indicatie ernstige clusterhoofdpijn;
- hoge dosis cytostatica en stamceltransplantatie voor de indicatie stadium III BRCA1-like borstkanker;
- cytoreductieve chirurgie gecombineerd met HIPEC voor de indicatie maagcarcinoom met synchrone buikvliesmetastasen of tumorpositief buikvocht.

Het voorwaardelijke toelatingstraject bij twee van de drie interventies zal langer dan 4 jaar duren. Toch adviseren wij deze twee interventies voor voorwaardelijke toelating, omdat door de langere duur van het voorwaardelijke toelatingstraject gegevens kunnen worden verzameld over overleving (een harde klinische uitkomstmaat). Ons uitgangspunt bij het beantwoorden van de vraag of de interventie conform de stand van de wetenschap en praktijk is, is dat wij klinische (zo 'hard' mogelijke) uitkomstmaten willen om ons oordeel op te baseren, zolang een dergelijk onderzoek haalbaar is. Daarnaast verwachten wij dat gedurende het voorwaardelijke toelatingstraject de standaardbehandeling niet zal veranderen.

Hoogachtend,

Arnold Moerkamp
Voorzitter Raad van Bestuur

Zorginstituut Nederland

Voorwaardelijke toelating tot het basispakket 2016

Datum	13 april 2015
Status	Definitief

Colofon

Uitgave	Extra exemplaren kunt u downloaden vanaf www.zorginstituutnederland.nl.
Volgnummer	2015013731
Auteur	
Contactpersonen	
Afdeling	
Uitgebracht aan	de Minister van VWS

Inhoud

Samenvatting

Vanaf 1 januari 2012 is het mogelijk om interventies die niet voldoen aan het wettelijke criterium 'de stand van de wetenschap en praktijk' voorwaardelijk toe te laten tot het basispakket van de Zorgverzekeringswet (Zvw). De voorwaarde bestaat uit de eis van het verzamelen van gegevens over de (kosten-)effectiviteit van de interventie. Deze gegevens moeten het Zorginstituut in staat stellen om aan het eind van de voorwaardelijke toelatingsperiode een besluit te nemen over wel of geen definitieve toelating tot het basispakket. Deelname aan onderzoek is voorwaarde voor de verzekerde om in deze periode in aanmerking te komen voor vergoeding van de interventie.

In het afgelopen jaar was het opnieuw mogelijk voor partijen in de zorg om onderwerpen in te dienen voor voorwaardelijke toelating. In dit rapport beschrijven we de interventies die door Zorginstituut Nederland en ZonMw gezamenlijk zijn beoordeeld. Drie van de negen ingediende onderwerpen zijn geselecteerd voor een positief advies aan de minister van VWS. Dit zijn de volgende interventies:

- occipitale neurostimulatie voor de indicatie ernstige clusterhoofdpijn;
- hoge dosis cytostatica en stamceltransplantatie voor de indicatie stadium III BRCA1-like borstkanker;
- cytoreductieve chirurgie gecombineerd met HIPEC voor de indicatie maagcarcinoom met synchrone buikvliesmetastasen of tumorpositief buikvocht.

In dit rapport geven we achtergrondinformatie over de interventies en de aandoening waarvoor zij zullen worden ingezet, en de argumenten die hebben geleid tot een positief advies over voorwaardelijke toelating van deze interventies tot het pakket.

Met het instrument voorwaardelijke toelating is nu enige jaren ervaring opgedaan. Dit is aanleiding geweest om wijzigingen aan te brengen in de regelgeving hieromtrent en om extra aandacht te schenken aan de voorbereiding van een voorwaardelijk toelatingstraject.
Relevante wijzigingen in de regelgeving zijn de volgende:

- het instrument voorwaardelijke toelating kan met ingang van 1 januari 2015 ook worden ingezet voor extramurale hulpmiddelen (het was tot dan alleen mogelijk voor geneeskundige zorg en voor extramurale farmacie).
- aan de voorwaardelijke toelating is voor de verzekerde een verplichting tot deelname aan onderzoek gekoppeld. Het (hoofd)onderzoek dient tot gegevens te leiden over de (kosten-)effectiviteit van de interventie, waarmee het Zorginstituut zich een nieuw oordeel kan vormen over de vraag of de interventie conform de stand van de wetenschap en praktijk is. Daarnaast zal meestal ook een nevenonderzoek worden uitgevoerd, voor die verzekerden die niet kunnen deelnemen aan het hoofdonderzoek.
- het wordt vier maal per jaar mogelijk om een voorwaardelijk toelatingstraject te starten (voorheen was dit éénmaal per jaar op 1 januari).
- de periode van voorwaardelijke toelating was voorheen maximaal vier jaar, maar kan nu bij uitzondering en mits goed onderbouwd langer duren, tot maximaal zeven jaar.

De minister van VWS heeft voorts een extra beslismoment ingelast om te bevorderen dat de voorwaardelijke toelating ingaat op het moment dat er afspraken gemaakt zijn door de betrokken partijen over een succesvol verloop van de

voorwaardelijke toelating en het onderzoek klaar is om van start te gaan. In dit rapport lichten wij de argumenten voor deze wijziging en de inhoud van de afspraken ('het convenant') toe.

Kort gezegd is de procedure nu als volgt:
Zodra de minister – op basis van het advies van het Zorginstituut- een interventie heeft aangewezen als *potentiële* kandidaat voor voorwaardelijke toelating tot het pakket, maken partijen afspraken met elkaar in een convenant. Belangrijke onderdelen ervan zijn het zorgdragen voor een goede communicatie met de patiënten en het eens worden over een 'exitstrategie', waarmee bedoeld wordt dat er draagvlak is voor het beëindigen van de vergoeding van de zorg in geval van een uiteindelijke negatieve pakketbeslissing van het Zorginstituut.
Indien het convenant door het Zorginstituut met een positief advies aan de minister van VWS is aangeboden en de minister de gemaakte afspraken voldoende solide vindt, neemt zij een definitief besluit en kan de regelgeving worden gewijzigd.

Naast de uitbreiding van de mogelijkheid tot voorwaardelijke toelating met de extramurale hulpmiddelen wordt het ook mogelijk om 'top-down', dat wil zeggen in aansluiting op een negatief standpunt van het Zorginstituut, een verzoek in te dienen tot voorwaardelijke toelating. Het Zorginstituut zal bij ieder negatief standpunt (voorzover het gaat om een interventie die niet voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk) een inschatting maken of het onderwerp geschikt is voor voorwaardelijke toelating. Als dit het geval is, worden partijen uitgenodigd om een dossier in te dienen.

Het voorwaardelijke toelatingsprogramma groeit en wordt geleidelijk aan volwassen. De in dit rapport toegelichte procedure heeft als doel om op verantwoorde wijze goed onderzoek te laten verrichten naar de (kosten-)effectiviteit van veelbelovende interventies en om draagvlak te creëren voor de daarop volgende pakketbeslissing, ongeacht of die beslissing positief of negatief uitvalt.
In de consultatieronde van dit rapport hebben enkele partijen in de zorg kritiek geuit op de lange doorlooptijden en de hoeveelheid administratie, omdat dit op gespannen voet zou staan met de wens om innovaties snel toegankelijk te maken voor patiënten. Wij vinden het een verbetering dat een voorwaardelijk toelatingstraject pas van start kan gaan nadat de betrokken partijen afspraken met elkaar hebben gemaakt over het traject. Dit leidt tot toename van de kans op succes van een voorwaardelijk toelatingstraject, en helpt discussies achteraf en onrust voorkomen. Ook vragen de zorgverzekeraars aandacht voor de uitvoeringsproblemen die zij ervaren met de nu voorwaardelijk toegelaten onderwerpen. Op deze punten gaan wij in in dit rapport.

Inleiding

De minister van VWS heeft per 1 januari 2012 de bevoegdheid gekregen om bepaalde interventies, die niet voldoen aan het wettelijke criterium 'de stand van de wetenschap en praktijk', voorwaardelijk toe te laten tot het basispakket van de Zorgverzekeringswet (Zvw).
De voorwaarde bestaat uit de eis van het verzamelen van gegevens over effectiviteit (en eventueel kosteneffectiviteit) in een tevoren vastgestelde periode van meestal vier jaar en in uitzonderlijke gevallen langer, tot maximaal zeven jaar. Deze gegevens dienen van voldoende kwaliteit te zijn om aan het eind van deze periode een besluit te kunnen nemen over definitieve toelating tot of over uitstroom uit het pakket.

Vanaf 2012 zijn op geleide van adviezen van Zorginstituut Nederland een aantal interventies voorwaardelijk toegelaten tot het basispakket. De ervaringen die tot nu toe zijn opgedaan hebben aanleiding gegeven tot wijziging van de regelgeving omtrent voorwaardelijke toelating. In dit rapport bespreken we de actuele regelgeving.

Nieuw is voorts dat er na de advisering aan de minister over potentieel geschikte onderwerpen voor voorwaardelijke toelating een voorbereidingsfase is ingelast, waarin de betrokken partijen met elkaar afspraken dienen te maken over het verloop en de afloop van het traject. Pas nadat deze afspraken zijn gemaakt en in een convenant zijn beschreven, neemt de minister een definitief besluit over de voorwaardelijke toelating van de interventie en wordt aansluitend de regelgeving in die zin gewijzigd. In dit rapport beschrijven we het kader voor het convenant.

Ook in het afgelopen jaar zijn door partijen in de zorg onderwerpen ingediend die door het Zorginstituut zijn beoordeeld. Zowel de Wetenschappelijke Adviesraad (WAR) van het Zorginstituut als de Commissie Evaluatie van Effecten en Kosten (EEK) van het Programma Doelmatigheidsonderzoek van ZonMw zijn nauw betrokken geweest bij de beoordelingsprocedure. We bespreken de overwegingen van beide commissies die hebben geleid tot de afwijzing van een aantal ingediende onderwerpen. We presenteren in dit rapport de geselecteerde interventies met een positief advies aan de minister.

Leeswijzer: in hoofdstuk één bespreken we de huidige regelgeving. Hoofdstuk twee beschrijft de huidige procedure voor voorwaardelijke toelating, van indiening tot en met de uitvoering en eindevaluatie. Op het nieuwe onderdeel 'voorbereiden van het traject – het convenant' gaan we uitgebreid in in dit hoofdstuk.
In hoofdstuk drie komen de nieuwe onderwerpen voor voorwaardelijke toelating aan de orde en in hoofdstuk vier bespreken we de reacties van de partijen in de zorg op het concept-rapport. Hoofdstuk vijf bevat de conclusies en in hoofdstuk zes volgt de vaststelling van het rapport.

1 Voorwaardelijke toelating: achtergrond en doel

1.1 Het basispakket

Uitgangspunt van de Zorgverzekeringswet (Zvw) is dat alleen zorg die als effectief en kosteneffectief beschouwd kan worden onderdeel zou moeten uitmaken van het basispakket. De eis van effectiviteit is expliciet vastgelegd in de wet. De term die daarvoor gebruikt wordt is 'de stand van de wetenschap en praktijk'.
Zorginstituut Nederland heeft als taak om te verduidelijken, desgewenst, of zorg voldoet aan dit criterium. Als er geen gegevens zijn, of gegevens met een onvoldoende methodologische kwaliteit moet de conclusie volgen dat de zorg niet conform de stand van de wetenschap en praktijk is. De betreffende zorg zit dan niet in het basispakket van de Zvw. Dit doet niet altijd recht aan de realiteit, namelijk dat er vaak enige mate van onzekerheid is over de effectiviteit van een interventie. Het feit dat een interventie niet vergoed wordt uit de basisverzekering kan belemmerend werken voor het doen van verder onderzoek, waardoor instroom in het basispakket vertraging oploopt. Dit kan later nadelig blijken voor verzekerden als het gaat om zorg die mogelijk waardevol is. Met name dus als het gaat om potentieel waardevolle zorg kan het van belang zijn om door middel van voorwaardelijke vergoeding van die zorg (veel gebruikte term: conditional reimbursement) te bevorderen dat het verzamelen van gegevens over (kosten)effectiviteit voortvarend verloopt. Hierop kan dan vlot een goed onderbouwd oordeel over de effectiviteit van de interventie volgen, leidend tot continuering van de vergoeding, of beëindiging ervan.
In geselecteerde gevallen is dus voorwaardelijke vergoeding van een interventie een goed instrument. Dit houdt in dat de kosten van de interventie worden vergoed op voorwaarde dat er gelijktijdig gegevens van een zo hoog mogelijk niveau worden verzameld over de effectiviteit en eventueel de kosteneffectiviteit.

1.2 Vormgeving van de voorwaardelijke vergoeding

Er zijn verschillende manieren waarop het onder voorwaarden financieren van zorg kan worden vormgegeven: via een subsidieregeling of via tijdelijke toelating tot het basispakket.[1] De regering heeft gekozen voor de laatste methode. Per 1 januari 2012 is het instrument van voorwaardelijke toelating tot het basispakket geïntroduceerd. In het Besluit zorgverzekering (Bzv) is een bepaling opgenomen die inhoudt dat de minister bij ministeriële regeling kan bepalen dat zorg die niet voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk toch tijdelijk en voor een bepaalde periode onder de basisverzekering valt. In de toelichting hierop staat:
'In die periode moeten de noodzakelijke gegevens worden verzameld voor een beslissing over de vraag of de zorg definitief in het pakket wordt opgenomen danwel er in blijft. Voorwaardelijke toelating kan ook leiden tot een beslissing om een bepaalde behandelmethode in zijn geheel uit het verzekerde pakket te verwijderen, dan wel tot aanscherping in de aanspraken van de indicatievoorwaarden voor een behandelmethode.'
Deze voorwaardelijke toelating was aanvankelijk alleen voor geneeskundige zorg in de betekenis van de Zvw mogelijk, maar is inmiddels ook van toepassing op

[1] Voorwaardelijke financiering in het kader van een verantwoord pakket. CVZ (huidige naam: Zorginstituut Nederland), Diemen. Publicatienr. 283, 2009. Zie www.zorginstituutnederland.nl. In dit rapport zijn de voor- en nadelen van beide manieren besproken en heeft het toenmalige CVZ voorkeur uitgesproken voor vormgeving in een subsidieregeling.

extramurale hulpmiddelen en op extramurale geneesmiddelen.[2]

1.3 Regelgeving, financiële middelen en dekking

1.3.1 Regelgeving

De regelgeving betreffende voorwaardelijke toelating is in de afgelopen jaren enkele malen gewijzigd, volgend op de inmiddels opgedane ervaring.
Aanvankelijk was de vergoeding van de voorwaardelijk toegelaten zorg niet gekoppeld aan deelname aan het onderzoek en bestond ook 'aanspraak' op de zorg zonder deelname aan onderzoek. Dit heeft een aantal nadelen. In de eerste plaats is het onwenselijk, vanuit het oogpunt van veiligheid, dat zorg waarover nog veel onzekerheden bestaan, geleverd wordt buiten onderzoeksverband.[3] Professionals zouden vanuit hun medische taakopvatting geen zorg moeten aanbieden (buiten onderzoeksverband) die nog onvoldoende evidence-based is. In de tweede plaats kan door het ontbreken van een verplichting tot deelname aan een studie (trial of dataregistratie) het uitvoeren van een studie zelfs worden belemmerd: verzekerden en zorgaanbieders kunnen voorkeur hebben voor het verkrijgen en leveren van de betreffende zorg zonder de ballast van het onderzoek. Tenslotte zijn er ook financiële argumenten om de vergoeding te beperken tot deelname aan onderzoek. Het is immers nog geen uitgemaakte zaak dat de voorwaardelijk toegelaten zorg daadwerkelijk een aanwinst zal zijn voor het basispakket: dit nu moet juist in de periode van voorwaardelijke toelating worden uitgezocht. Het vergoeden van zorg zonder dat er onderzoeksgegevens voor terug komen, waardoor niet kan worden vastgesteld of de zorg wel of niet (kosten)effectief is, kan niet beschouwd worden als een zinnige besteding van de collectief (verplicht) opgebrachte premies.

In 2014 is om bovenstaande redenen de regelgeving aangescherpt: aan de aanspraak op voorwaardelijk toegelaten zorg is nu een onderzoeksplicht gekoppeld. De verzekerde dient dus deel te nemen aan onderzoek om voor vergoeding van de zorg in aanmerking te komen. Dit onderzoek bestaat in ieder geval uit een methodologisch hoogwaardige studie waarmee de effectiviteit van de interventie ten opzichte van de gebruikelijke zorg kan worden aangetoond, het hoofdonderzoek. Daarnaast kan een nevenonderzoek worden opgezet voor die verzekerden die niet de mogelijkheid hebben om aan dit hoofdonderzoek deel te nemen.[4] In de praktijk zal het hoofdonderzoek meestal uit een gerandomiseerd gecontroleerde trial (RCT) bestaan en zal het nevenonderzoek een observationele studie zijn die gestart wordt op het moment dat de RCT-inclusiefase is afgerond, maar we nog in afwachting zijn van de resultaten van deze studie. In die periode is de voorwaardelijke toelating nog van kracht en bestaat er dus aanspraak op de zorg. In het nevenonderzoek kunnen aanvullende gegevens worden verzameld over bijvoorbeeld bijwerkingen, complicaties of toepassing in de praktijk.

---

[2] Geneeskundige zorg houdt in: zorg zoals huisartsen, medisch specialisten, klinisch psychologen en verloskundigen plegen te bieden. Verder omvat geneeskundige zorg: dyslexiezorg, zorg bij stoppen-met-roken programma's, geriatrische revalidatie en paramedische zorg (volgens de in het Bzv en Rzv beschreven voorwaarden). Per 1 januari 2014 is de mogelijkheid van voorwaardelijke toelating gerealiseerd voor extramurale farmacie, en per 1 januari 2015 eveneens voor extramurale hulpmiddelen.

[3] Primum non nocere (First, do no harm).

[4] Een nevenonderzoek *kan* worden opgezet maar is niet verplicht. Dit kan alleen als het aanbieden van de zorg buiten vergelijkend onderzoek om medisch verantwoord is, en dit wordt beoordeeld door onderzoekers/zorgaanbieders en het Zorginstituut samen.

In de huidige regelgeving is dit voor de nu voorwaardelijk toegelaten interventies[5] als volgt verwoord.[6]

Als onderzoek naar zorg wordt aangemerkt:

a) hoofdonderzoek naar de effectiviteit van de zorg dat door ZonMw wordt gefinancierd, en
b) aanvullend landelijk observationeel onderzoek naar de zorg dat in samenwerking met het hoofdonderzoek wordt opgezet en verricht indien:
1. de verzekerde, behoudens de zorginhoudelijke criteria, niet voldoet aan de criteria voor deelname aan het hoofdonderzoek,
2. de verzekerde niet heeft deelgenomen aan het hoofdonderzoek en de inclusie voor dat hoofdonderzoek is beëindigd, of
3. de verzekerde heeft deelgenomen aan het hoofdonderzoek zonder de zorg te hebben ontvangen en de deelname aan het hoofdonderzoek voor die verzekerde is voltooid.

Een tweede wijziging in de regelgeving betreft de ingangsdatum van voorwaardelijke toelating. Was dit voorheen altijd de 1ste januari van een bepaald jaar, in de toekomst zal dit flexibeler worden, namelijk op vier verschillende momenten per jaar[7]. Hierop gaan wij nader in in het hoofdstuk over de voorwaardelijke toelatingsprocedure (hfdst 2).

1.3.2 *Financiële middelen en dekking*

In de brief aan de Tweede Kamer over voorwaardelijke toelating tot het basispakket (juni 2014) laat de minister weten dat er vanaf 2014 in het budgettair kader zorg (BKZ) middelen zijn gereserveerd, oplopend van € 15,5 miljoen in 2014 tot structureel € 99 miljoen in 2018. "Voorwaardelijke toelating van interventies vindt plaats binnen deze budgettaire reeks. Dekking van deze middelen is beschikbaar door lager dan geraamde uitgaven op het kader geneesmiddelen. Het grootste deel van de gereserveerde middelen (€ 12,5 miljoen in 2014 oplopend naar structureel € 75 miljoen vanaf 2017) is beschikbaar voor de voorwaardelijke toelating van geneeskundige zorg. Het resterende bedrag is beschikbaar voor de voorwaardelijke toelating van extramurale geneesmiddelen."[8] In de loop van 2015 wordt een besluit genomen over het budget voor de voorwaardelijke toelating van extramurale hulpmiddelen.

---

[5] Op dit moment zijn de volgende interventies voorwaardelijk toegelaten:
Behandeling van chronische aspecifieke lage rugklachten met toepassing van anaesthesiologische pijnbestrijdingstechnieken;
Behandeling van therapieresistente hypertensie met toepassing van percutane renale denervatie;
Behandeling van een herseninfarct met toepassing van intra-arteriële thrombolyse;
Behandeling door middel van transluminale endoscopische step-up benadering van een geïnfecteerde pancreasnecrose;
Het verrichten van een autologe stamceltransplantatie bij een ernstige therapierefractaire morbus Crohn;
Behandeling van coloncarcinoom met adjuvante hypertherme intraperitoneale chemotherapie.

[6] Regeling zorgverzekering, artikel 2.2.

[7] Respectievelijk op 1 januari, 1 april, 1 juli en 1 oktober.

[8] Brief aan de Tweede Kamer, 10 juni 2014. Kenmerk 383544-122172-GMT.

2 Procedure voorwaardelijke toelating

2.1 Inleiding

Dossiers voor voorwaardelijke toelating tot het basispakket kunnen op twee manieren worden aangemeld. In de eerste plaats is er de jaarlijkse indieningsronde, waarbij partijen een aanvraag kunnen indienen voor een interventie die zij geschikt achten voor voorwaardelijke toelating (‘botttom-up’). In de afgelopen jaren zijn op deze manier jaarlijks een tiental onderwerpen aangemeld. In de tweede plaats willen we ook de mogelijkheid bieden aan partijen om in aansluiting op een negatief standpunt[9] van het Zorginstituut een dossier in te dienen (‘top-down’). Om dit mogelijk te maken maakt het Zorginstituut sinds kort bij ieder negatief standpunt de inschatting of de betreffende interventie geschikt lijkt voor een voorwaardelijk toelatingstraject. Dit geldt uiteraard alleen voor interventies die vallen onder geneeskundige zorg, extramurale farmacie of extramurale hulpmiddelen. Voor andere zorgvormen bestaat geen voorwaardelijke toelating.

Een ingediend dossier (bottom-up of top-down) wordt volgens een sinds enkele jaren bestaande, vaste procedure beoordeeld. Deze beoordelingsprocedure is in eerdere rapportages uitgebreid besproken.[10] Er zijn echter in het vervolg van de gehele procedure belangrijke wijzigingen opgetreden: nadat het dossier door het Zorginstituut geschikt is bevonden volgt een advies hierover aan de minister van VWS. Nadat de minister heeft besloten of de betreffende interventie een potentiële kandidaat is, wordt aan de relevante partijen verzocht om voorafgaande aan de voorwaardelijke toelating afspraken te maken met elkaar over een succesvol verloop van het traject. Deze afspraken worden vastgelegd in een convenant. Hierna neemt de minister een definitief besluit over het wel of niet voorwaardelijk toelaten van de interventie en wordt desgewenst de regelgeving gewijzigd. Deze fasering van het gehele traject in een eerste fase van beoordeling en vervolgens een tweede fase, die van voorbereiding, dient ertoe om de kans op een goed verloop zo groot mogelijk te maken.
De indienings-, beoordelings- en voorbereidingsprocedure zetten we hieronder nader uiteen.

2.2 Het indienen van een dossier

Via Projectnet (het online indiensysteem van ZonMw) kan een dossier worden ingediend. Dit is mogelijk in een bottom-up ronde één maal per jaar of op uitnodiging van het Zorginstituut (top-down) en direct in aansluiting op een negatief standpunt.
Het in te dienen dossier bestaat uit drie onderdelen: inhoudelijke gegevens, financiële gegevens en het onderzoeksvoorstel.

1. Inhoudelijke gegevens
a) over de voorwaardelijk toe te laten interventie
b) over de aandoening/indicatie

---

[9] Met een ‘negatief standpunt’ bedoelen we hier dat de beoordeelde interventie niet voldoet aan het criterium de stand van de wetenschap en praktijk en om die reden geen deel uitmaakt van het verzekerde pakket. Interventies die om andere redenen geen verzekerde zorg zijn (bijvoorbeeld omdat zij wettelijk uitgesloten zijn) komen niet in aanmerking voor voorwaardelijke toelating.

[10] Zie het rapport Voorwaardelijke toelating tot het basispakket 2015, 3 maart 2014. (www.Zorginstituutnederland.nl). Kort samengevat: we hanteren primaire en secundaire criteria. De primaire criteria gaan vooral over de haalbaarheid van een succesvolle voorwaardelijke toelating. De secundaire criteria betreffen vooral de maatschappelijke relevantie van de aandoening en de verwachte meerwaarde van de interventie.

c) over de vigerende standaard- of gebruikelijke behandeling
d) overzicht van de beschikbare gegevens over effectiviteit in de vorm van een systematische review van de literatuur; omschrijving van de lacune in kennis over effectiviteit
e) overzicht van de beschikbare gegevens over kosteneffectiviteit in de vorm van een systematische review van de literatuur; omschrijving van de lacune in kennis over kosteneffectiviteit
f) het verwachte voordeel van de nieuwe interventie wat betreft effectiviteit en kosteneffectiviteit
g) de toekomstige plaats van de nieuwe interventie in het behandelarsenaal
h) voorstel voor implementatie/de-implementatie
i) de schriftelijke mening van de relevante beroepsgroep(en) en patiëntenorganisatie(s).

2. Financiële gegevens
a) de kostprijs van de voorwaardelijk toe te laten interventie
b) de kostprijs van de standaard- of gebruikelijke behandeling
c) welke professionals/instellingen de zorg gaan leveren
d) het verwachte volume aan zorg en de ontwikkeling daarvan
e) de kostenprognose
f) beschikbaarheid van een prestatiebeschrijving (zorgactiviteit).

3. Informatie over de haalbaarheid
a) intentieverklaring van instellingen/zorgverleners
b) intentieverklaring van onderzoekers
c) intentieverklaring van betrokken beroepsgroep(en)
d) intentieverklaring van betrokken patiëntenorganisatie(s).

4. Het onderzoeksvoorstel
a) onderzoeksvraag
b) onderzoeksdesign voor hoofdonderzoek
c) economische evaluatie
d) gegevens over andere lopende studies
e) haalbaarheid en tijdschema
f) begroting.

Bij het indienen van een voorstel voor voorwaardelijke toelating kan tegelijkertijd een subsidieverzoek worden ingediend voor het onderzoeksdeel bij het programma DoelmatigheidsOnderzoek (gerichte ronde) van ZonMw.[11] ZonMw heeft (beperkt) middelen beschikbaar gesteld voor uitvoering van het hoofdonderzoek, indien dit aantoonbaar niet uit andere bronnen gefinancierd kan worden. In genoemde Tweede Kamerbrief over voorwaardelijke toelating staat hierover het volgende: "Het onderzoek naar de (kosten)effectiviteit van voorwaardelijk toegelaten zorg wordt in beginsel gefinancierd door de industrie/grote commerciële partijen. Voor partijen waarvoor dit onmogelijk is bestaat de mogelijkheid om een onderbouwd subsidieverzoek in te dienen bij ZonMw; binnen het programma DoelmatigheidsOnderzoek is hier vanaf 2015 € 1,6 miljoen per jaar voor beschikbaar."[8]

2.3 Het beoordelen van een dossier

Het Zorginstituut beoordeelt ingediende dossiers op haalbaarheid, relevantie en verwachte meerwaarde van de interventie en raadpleegt daarbij zijn

[11] Zie www.zonmw.nl voor meer informatie over de gerichte ronde van het Doelmatigheidsprogramma.

Wetenschappelijke Adviesraad (WAR). Daarnaast geeft de Commissie Evaluatie Effecten en Kosten (EEK) van ZonMw advies over de wetenschappelijke kwaliteit van het onderzoeksvoorstel, ongeacht of voor het onderzoek subsidie is aangevraagd bij ZonMw. Het ZonMw advies is gebaseerd op het oordeel van de referenten en de reactie van de indieners daarop (hoor en wederhoor). Alleen dossiers waarvan het onderzoeksvoorstel als minstens voldoende is beoordeeld, komen verder in de procedure.
De aldus geselecteerde onderwerpen worden voorgelegd aan de partijen in de zorg[12] in een bestuurlijke consultatieronde. Vervolgens brengt het Zorginstituut na alle reacties afgewogen te hebben het advies uit aan de minister van VWS om de geselecteerde interventie(s) voorwaardelijk tot het basispakket toe te laten. Indien de minister van mening is dat een interventie een potentiële kandidaat is voor voorwaardelijke toelating, kunnen de betrokken partijen de daadwerkelijke uitvoering van het voorwaardelijke toelatingstraject gaan voorbereiden en afspraken daarover neerleggen in een convenant.

2.4 Het voorbereiden van een voorwaardelijke toelatingstraject

2.4.1 Het convenant

Zodra de minister van VWS –op basis van het advies van het Zorginstituut- een interventie heeft aangewezen als potentiële kandidaat voor voorwaardelijke toelating, wordt van de partijen verwacht dat zij afspraken met elkaar maken voor een succesvol verloop en afloop van het traject. Met dit laatste bedoelen we met name dat er in geval van een uiteindelijke negatieve pakketbeslissing voldoende draagvlak is voor beëindiging van de vergoeding vanuit de basisverzekering.
De betrokken partijen zijn in ieder geval de beroepsgroep(en), de patiëntenorganisatie(s), de instellingen en eventueel de fabrikant als het gaat om geneesmiddelen of intra-/extramurale hulpmiddelen.
De afspraken worden beschreven in een convenant dat door alle betrokken partijen wordt ondertekend. Zorginstituut Nederland begeleidt de totstandkoming van het convenant, partijen zijn echter zelf verantwoordelijk voor die totstandkoming. Indien het Zorginstituut van mening is dat het convenant voldoende waarborgt dat de voorwaardelijke toelating van de betreffende interventie goed kan verlopen, adviseert het de Minister om een positief besluit te nemen. Indien de Minister eveneens de afspraken voldoende solide vindt, wijzigt zij vervolgens de regelgeving. Pas daarna is de voorwaardelijke toelating een feit.

2.4.2 Inhoud van het convenant

De minister heeft in september 2014 in een brief aan de Tweede Kamer de randvoorwaarden geschetst waaraan het convenant moet voldoen.[13] In de brief zijn deze als volgt gerubriceerd. We noemen per onderdeel de belangrijkste punten.

1. Het proces. In het convenant dient duidelijk te zijn aangegeven welke partijen deelnemen, en welke zorgverleners aan het hoofd- en/of nevenonderzoek meewerken. Het Zorginstituut stelt in overleg met de partijen vast welk verschil in effectiviteit als klinisch relevant kan worden beschouwd, zodanig dat gesproken kan worden van zorg die voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk. Het Zorginstituut monitort het verloop van het voorwaardelijke toelatingstraject en rapporteert hierover jaarlijks aan de minister.
2. De inhoud. De afspraken in het convenant betreffende de commitment van

[12] Diverse koepels/verenigingen van professionals en instellingen, de zorgverzekeraars, semi- overheidsinstanties, patiëntenorganisaties.
[13] Tweede Kamerbrief ‘Aanbieding kader’, 19 september 2014. Kenmerk 663817-125980-Z.

partijen, de inhoud en opzet van het onderzoek/de onderzoeken, de implementatie van de zorg bij aangetoonde effectiviteit en het beëindigen van vergoeding van de zorg als de effectiviteit niet wordt aangetoond. Verder worden afspraken gemaakt over het tijdpad en de monitoring.
3. De communicatie. Belangrijk is dat patiënten goed op de hoogte zijn van de condities waaronder de zorg wordt geboden. Hierover dient het convenant afspraken te bevatten.
4. De financiering. Er worden afspraken gemaakt over het declaratieverkeer en over het monitoren van de kosten. Indien de kostenraming wordt overschreden (door hogere dan geraamde patiëntenaantallen of zorgkosten), kan de minister besluiten op budgettaire gronden om het traject voortijdig te beëindigen.

2.5 De uitvoering van een voorwaardelijke toelatingstraject

2.5.1 Het verloop

Het Zorginstituut vraagt de onderzoekers twee keer per jaar een klankbordgroep bijeenkomst te organiseren, waaraan de convenantspartijen en vertegenwoordigers van de zorgverzekeraars (ZN), het Zorginstituut en ZonMw als waarnemers deelnemen. In de bijeenkomsten wordt de voortgang gerapporteerd en worden alle bijzonderheden die zich voordoen besproken. Daarnaast wordt verwacht dat jaarlijks kosten en volume van de voorwaardelijk toegelaten zorg worden aangeleverd. Deze gegevens benut het Zorginstituut voor het jaarlijkse voortgangsverslag aan de minister.[14] Dit voortgangsverslag kan ook een advies bevatten om het traject voortijdig te beëindigen, bijvoorbeeld in geval van mislukken van het onderzoek, het overschrijden van het budget of het beschikbaar komen van nieuwe medisch-wetenschappelijke gegevens over de betreffende interventie.

2.5.2 Eindevaluatie

Zes maanden voor het einde van de voorwaardelijke toelatingsperiode worden de resultaten van het hoofdonderzoek aan het Zorginstituut gerapporteerd. Op basis hiervan en een systematische review van de dan actuele medisch-wetenschappelijke literatuur over het onderwerp, vormt het Zorginstituut zich opnieuw een oordeel over de ‘stand van de wetenschap en praktijk’. Daarbij uitgaand van de in het convenant vastgelegde afspraken over de uitkomsten die nodig zijn voor een positief oordeel. Zoals gebruikelijk vindt advisering door de WAR plaats en worden de partijen in de zorg over het conceptstandpunt geconsulteerd. Het definitieve standpunt dient voor het aflopen van de voorwaardelijke toelatingsperiode te worden vastgesteld. Een positief standpunt houdt in dat vergoeding van de zorg kan worden gecontinueerd zonder de voorwaarde van deelname aan onderzoek, een negatief standpunt houdt in dat de vergoeding vanuit de basisverzekering wordt beëindigd. Het maken van duidelijke afspraken vooraf in het convenant over de vereiste uitkomsten moet ervoor zorgen dat ook een negatief standpunt op acceptatie kan rekenen bij alle betrokken partijen.
De resultaten van het nevenonderzoek (indien aan de orde) zijn niet van doorslaggevend belang voor het standpunt en zullen in de regel later ter beschikking komen.

[14] In juni 2015 zullen we verslag uitbrengen over de voortgang van de sinds 2012 voorwaardelijk toegelaten interventies en over de voortgang van de in 2014 geadviseerde interventies die nu in de voorbereidingsfase zijn.

3 Nieuwe onderwerpen voor voorwaardelijke toelating

In 2014 was het opnieuw mogelijk voor partijen om dossiers in te dienen voor voorwaardelijke toelating. Hieronder bespreken we het beoordelingstraject van deze ronde.

3.1 Bottom-up indieningsronde 2014

In september 2014 heeft Zorginstituut Nederland negen dossiers ontvangen (zie tabel). Na beoordeling is een aantal van deze dossiers niet geschikt bevonden voor voorwaardelijke toelating tot het basispakket. Hieronder bespreken we wat hierbij de overwegingen zijn geweest.

Ingediende onderwerpen voor voorwaardelijke toelating tot het basispakket (op volgorde van binnenkomst):

Effectiviteit van de orthocommunicatieve behandeling voor kinderen en jongeren met een autismespectrumstoornis
Horen met je tanden als behandeling voor unilateraal gehoorverlies
Occipitale zenuwstimulatie voor ernstige clusterhoofdpijn
Web-based telemedicine mijn IBD-coach
Vroege diagnostiek op het vaststellen van verhoogd risico op valincidenten bij ouderen en actieve interventie met het doel om valincidenten te voorkomen
Substantiële verbetering van de overleving van stadium III, BRCA1-like borstkanker patiënten met doelgerichte behandeling (hoge dosis cytostatica en stamceltransplantatie)
Combinatiebehandeling van cytoreductieve chirurgie en HIPEC bij patiënten met maagcarcinoom en synchrone buikvliesmetastasen en/of tumorpositief buikvocht
Economische evaluatie van behandelingsmogelijkheden voor positie-afhankelijke OSAS-patiënten
Optimalisatie van individuele reumatoïde artritis therapie middels de HandScan

3.1.1 Afgewezen dossiers

Twee van deze dossiers zijn aan het begin van het beoordelingsproces afgevallen om juridische redenen: resp. buiten het domein van de Zvw vallend of al tot het verzekerde pakket behorend.
Voor het onderwerp ‘valpreventie’ geldt dat de screening noch de preventie van valincidenten tot het domein van de Zvw behoort. Vergoeding hiervan is dan ook niet mogelijk, ook niet in het kader van voorwaardelijke toelating.
Wat betreft het web-based telemedicine systeem ‘Mijn IBD-coach’ geldt dat monitoring van patiënten met een chronische ziekte onderdeel uitmaakt van de reguliere zorg. Het via het internet regelen van monitoring is geen nieuwe interventie maar maakt gebruikt van andere dan de gebruikelijke methodes. Eerder (in 2011) heeft het Zorginstituut bepaald dat bij een e-healthvorm waarbij de zorg in samenstelling en effectiviteit niet wezenlijk is gewijzigd ten opzichte van de oorspronkelijke zorg, er sprake is van verzekerde zorg. Het voorgestelde onderwerp is daarom in principe al onderdeel van het pakket. Het is aan zorgverzekeraars om te besluiten of zij deze zorg in plaats van de ‘gewone’ zorg willen inkopen.

Voor twee andere dossiers geldt dat zij om inhoudelijke redenen zijn afgewezen: in beide gevallen was het Zorginstituut van mening dat het voorgestelde onderzoek geen antwoord geeft op de lacune in kennis over de effectiviteit van de interventie. In het geval van de behandelingsmogelijkheden voor positie-afhankelijke OSAS

(obstructief slaap apnoe syndroom) werd een observationeel onderzoek voorgesteld terwijl volgens de WAR voor een positief oordeel over de effectiviteit ten opzichte van bestaande zorg een vergelijkend onderzoek nodig is. Dit vergelijkende onderzoek is al enige tijd geleden in gang gezet. Voorwaardelijke toelating is dus ook om die reden niet aangewezen.
Wat het diagnostische hulpmiddel HandScan betreft was de WAR van mening dat de diagnostische accuratesse nog onvoldoende is aangetoond om al een studie naar klinisch nut te kunnen uitvoeren, bovendien was de WAR het niet eens met de keuze van de uitkomstmaat in het voorgestelde onderzoek.

De overige vijf dossiers zijn door het Zorginstituut als relevant en haalbaar voor voorwaardelijke toelating beoordeeld, en voor een kwaliteitsadvies aan ZonMw voorgelegd. Twee hiervan hebben het oordeel 'matig' gekregen. Zij krijgen de mogelijkheid aangeboden om een verbeterd voorstel in te dienen. Dit zal buiten dit rapport verder worden behandeld.
In het onderzoeksvoorstel orthocommunicatieve behandeling bij een autismespectrumstoornis ontbreekt een gematchte controlegroep, zijn de uitkomstmaten niet voldoende robuust en wordt aan de haalbaarheid van de benodigde patiëntenaantallen getwijfeld. In de hoor en wederhoorronde zijn deze bezwaren niet weggenomen.
In het onderzoeksvoorstel in het dossier 'horen met je tanden' ontbreekt een vergelijking met hoortoestellen die tot de standaardzorg behoren. In de hoor en wederhoorronde is daarom door de onderzoekers een fundamenteel ander onderzoeksdesign voorgesteld. Dit dient naar de mening van de Commissie EEK nader uitgewerkt te worden voordat beoordeling op kwaliteit mogelijk is.

3.1.2 Dossiers voor voorwaardelijke toelating

Drie dossiers zijn als relevant, haalbaar en in wetenschappelijk opzicht van voldoende kwaliteit beoordeeld.[15] Deze drie interventies bieden wij vergezeld van een positief advies aan aan de minister van VWS. Hieronder volgt een korte beschrijving. Een uitgebreidere samenvatting vindt u in bijlage 1.

3.1.2.1 Occipitale zenuwstimulatie in onbehandelbare chronische cluster hoofdpijn

Dit gaat om een relatief zelden voorkomende en onbekende ernstige vorm van hoofdpijn, die niet meer reageert op medicatie. De ziektelast is hoger dan die van de vaker voorkomende en bekendere migraine. De pijn wordt door patiënten als ondraaglijk beschreven en een groot deel van de patiënten raakt door de aandoening arbeidsongeschikt en kan niet meer participeren in de maatschappij. De schatting is dat er ongeveer 67 nieuwe patiënten per jaar bij komen.
Door middel van stimulatie van de occipitale zenuwen via een electrode lijkt het mogelijk om de frequentie van de hoofdpijn met minstens 30% te verminderen. Als de interventie inderdaad effectief blijkt, zal dit de kwaliteit van leven en de sociale participatie van patiënten belangrijk kunnen verbeteren. Het onderzoek is al enkele jaren gaande, maar dreigt te stranden vanwege onvoldoende financiering van de zorg en van het onderzoek. Voorwaardelijke toelating zou het onderzoek vlot kunnen trekken.
Een effectieve neurostimulatie is naar verwachting kosteneffectief, aangezien de kosten van deze ernstige hoofdpijn hoog zijn (door medicatie en bijwerkingen hiervan, ziekteverzuim en chronische arbeidsongeschiktheid).
Zorginstituut Nederland heeft dit onderwerp als zeer relevant aangemerkt, aangezien het om een groep patiënten gaat met een chronische aandoening met hoge ziektelast, voor wie op dit moment geen effectieve behandeling beschikbaar is.

---

[15] De Commissie EEK van ZonMw heeft in haar eindoordeel per onderzoek een aantal aandachtspunten genoemd. Deze zijn toegezonden aan de onderzoeksgroepen en dienen geadresseerd te worden in fase 2 van het traject.

Een effectieve neurostimulatie kan jarenlang gebruik van dure medicatie, en de bijwerkingen daarvan, overbodig maken.
De kostenprognose voor de zorg te leveren in het (resterende) hoofdonderzoek is € 2.733.000.

3.1.2.2 Behandeling met hoge doses cytostatica en autologe stamceltransplantatie bij patiënten met BRCA1-like borstkanker

7,5% van alle borstkanker is van het BRCA1-like type. Dit is een zeer agressieve vorm, die slecht reageert op de gebruikelijke chemotherapie. De prognose van de – vaak relatief jonge- vrouwen met deze vorm van borstkanker is slecht: de helft van de patiënten is na enkele jaren overleden. In Nederland gaat het om ongeveer 90-120[16] nieuwe patiënten per jaar, jonger dan 60 jaar, met deze agressieve vorm van kanker.
Er zijn aanwijzingen dat voor deze borstkankervorm behandeling met een hoge dosis cytostatica, ondersteund met autologe stamceltransplantatie, effectiever is dan de huidige gangbare behandelingen. Door eerst het precieze tumortype te identificeren door middel van de BRCA1-like test kan deze zware combinatie behandeling doelgericht worden gegeven. De verwachting is dat de kans op overlijden binnen 10 jaar in deze subgroep zal afnemen van 60% naar 15%.
Zorginstituut Nederland heeft dit onderwerp als zeer relevant aangemerkt. Het betreft een subgroep van relatief jonge patiënten met een hoge ziektelast, waarbij de te onderzoeken behandeling tot een aanzienlijke winst in levensjaren kan leiden. Een sterk punt is dat het onderzoek zich richt op klinische ‘harde’ uitkomstmaten, zodat de gegevens kunnen leiden tot een aanpassing van de huidige richtlijn.
De kostenprognose voor de zorg te leveren in het hoofdonderzoek is € 1.360.000.

3.1.2.3 Combinatiebehandeling van cytoreductieve chirurgie en hypertherme intraperitoneale chemotherapie (HIPEC) bij patiënten met een maagcarcinoom en synchrone buikvliesmetastasen en/of tumorpositief buikvocht

Patiënten met een maagcarcinoom hebben in de regel een slechte prognose als er bij operatie tumorcellen in de buikholte worden gevonden: de helft van de patiënten is binnen 3-4 maanden na het stellen van de diagnose overleden, ondanks behandeling met palliatieve cytostatica. Per jaar krijgen ongeveer 2.000 mensen een maagcarcinoom. Een groot deel hiervan is niet meer operabel ten tijde van de diagnose. Er zijn ongeveer 130[16] nieuwe patiënten per jaar met een maagcarcinoom en synchrone buikvliesmetastasen en/of tumorpositief buikvocht.
Cytoreductieve chirurgie gecombineerd met HIPEC wordt al enige tijd bij het colorectaal carcinoom toegepast en leidt bij die indicatie tot een verlenging van de levensduur ten opzichte van de tot dan toe gebruikelijke behandeling. De verwachting is dat toepassing bij zorgvuldig geselecteerde patiënten met maagcarcinoom er toe kan leiden dat de mediane levensverwachting van 6 tot tenminste 12 maanden stijgt, en dat een deel van de patiënten kan worden genezen.
De verwachting is dat de behandeling kosteneffectief zal zijn mede doordat patiënten zorgvuldig worden geselecteerd vooraf. Bij andere indicaties ligt de incrementele kosteneffectiviteitsratio (IKER) tussen de € 12.000 en € 22.000 per gewonnen levensjaar.
Zorginstituut Nederland heeft dit onderwerp als zeer relevant aangemerkt, aangezien het gaat om een aandoening met een hoge ziektelast, waarvoor nu palliatief kostbare en weinig effectieve chemotherapie wordt ingezet. Een sterk punt is dat het onderzoek zich richt op klinische ’harde’ uitkomstmaten, zodat de resultaten kunnen leiden tot een aanpassing van de huidige richtlijn.
De kostenprognose voor de zorg te leveren in het hoofdonderzoek is € 1.300.000.

[16] Niet alle nieuwe patiënten komen echter in aanmerking voor de behandeling.

3.1.3 *Voorbehoud kostenprognoses*

Wat betreft de kostenprognoses willen wij enkele opmerkingen maken.

- De nu gegeven kostenprognoses kunnen niet beschouwd worden als een exacte berekening van de te maken kosten. Op dit moment zijn nog niet alle details van de kosten bekend en moeten we dus een slag om de arm houden. Indien de minister de genoemde interventies geschikt acht als potentiële kandidaten voor voorwaardelijke toelating, worden details verder uitgewerkt en afspraken over de uitvoering gemaakt met partijen. Hierdoor zal in die fase de kostenprognose nauwkeuriger kunnen worden berekend dan nu is gedaan.
- In de kostenprognoses zijn de *kosten* van de te leveren zorg (voorzover bekend) gebruikt, terwijl een *tarief* ten laste van het BKZ gebracht zal worden. Bij de berekening hebben wij gebruik gemaakt van kosten, omdat tarieven vaak nog ontbreken. Kosten komen echter niet altijd overeen met tarieven. Ook dit draagt dus bij aan onnauwkeurigheid van de kostenprognoses.
- In bovenstaande tekst is alleen de kostenprognose voor het leveren van de zorg in het kader van het hoofdonderzoek berekend. Met het hoofdonderzoek duiden we aan het effectiviteitsonderzoek (in alle drie gevallen een RCT) dat gegevens kan opleveren van voldoende kwaliteit om te kunnen toetsten of de interventie voldoet aan de stand van de wetenschap en praktijk. Indien de zorg geleverd gaat worden aan verzekerden die niet kunnen deelnemen aan de het hoofdonderzoek, moet dit worden vastgelegd in een nevenonderzoek (meestal een observationele studie of patiëntenregistratie). Is dit het geval, kan de kostenprognose van voorwaardelijke toelating van deze interventies een veelvoud worden van bovenstaande bedragen. In de voorbereidingsfase zullen onderzoekers/aanbieders en het Zorginstituut gezamenlijk bepalen of er naast het hoofdonderzoek een nevenonderzoek zal plaatsvinden en zo ja, welke omvang en duur dat zal hebben.

4 Reacties van partijen

Dit advies is in concept ter consultatie verzonden naar de relevante partijen in de zorg. De volgende partijen hebben gereageerd (in volgorde van binnenkomst van reacties; zie bijlage 2). Wij zijn hen erkentelijk voor hun reactie.

- het Nederlands Huisartsen Genootschap (NHG)
- de Federatie Medisch Specialisten
- Medtronic
- de Nederlandse Federatie van Universitair Medische Centra (NFU)
- Nefarma
- Nefemed
- de Nederlandse Vereniging van Ziekenhuizen (NVZ)
- Zorgverzekeraars Nederland (ZN).

Hieronder bespreken wij de reacties. Met enkele partijen zijn wij inmiddels afzonderlijk in overleg over bepaalde inhoudelijke aspecten van de procedure en voorgestelde onderwerpen.

4.1 NHG

De NHG laat weten dat het concept-advies er in grote lijnen gedegen uitziet en dat de adviezen goed zijn gedocumenteerd. De NHG merkt op dat slechts één van de drie voorgestelde onderzoeken in internationaal verband plaatsvindt, en zou verwachten dat dat voor de overige twee ook het geval zou kunnen zijn.
Inderdaad is het zo dat het onderzoek ‘occipitale neurostimulatie bij clusterhoofdpijn’ een internationale studie is. Deze studie is enkele jaren geleden al gestart en nu voorgedragen voor voorwaardelijke toelating aangezien de voortgang van de studie door tekortschietende financiering in gevaar komt. Voor de overige twee geldt dat men verwacht dat in Nederland voldoende patiënten beschikbaar zullen zijn om de studie binnen redelijke tijd te kunnen afronden.

4.2 Federatie Medisch Specialisten

De Federatie is voorstander van het principe van voorwaardelijke toelating tot het basispakket. Zij heeft het advies voorgelegd aan de bij de drie geselecteerde onderwerpen betrokken wetenschappelijke verenigingen en geconstateerd dat er draagvlak is voor deze onderwerpen. Concluderend is de Federatie positief over deze selectie.

4.3 Medtronic

De firma Medtronic heeft het concept-advies ontvangen van belangenorganisatie voor medische hulpmiddelen Nefemed. Medtronic wordt namelijk in het concept genoemd bij het onderwerp ‘occipitale neurostimulatie bij clusterhoofdpijn’. De studie over deze interventie is al enige jaren geleden gestart en wordt door Medtronic financieel ondersteund. Medtronic wil graag de indruk wegnemen dat de studie door de firma wordt gesponsord. Medtronic biedt ondersteuning bestaande uit het financieren van een promovendusplaats en de levering van de neurostimulatie implantaten.
Naar aanleiding van de reactie van Medtronic is de tekst in de bijlage van het advies gewijzigd. De geciteerde opmerking van ZonMw in deze bijlage is niet gewijzigd.

4.4 NFU

De NFU heeft geen nieuw commentaar op de procedure voor voorwaardelijke toelating en verwijst naar eerdere opmerkingen in de consultatieronde in 2014.

4.5 Nefarma

De brancheorganisatie Nefarma merkt op dat voor geneesmiddelen een zware registratielast geldt, in tegenstelling tot overige vormen van zorg. Voorwaardelijke toelating zal daarom slechts bij uitzondering worden ingezet bij geneesmiddelen. Nefarma is van mening dat als er sprake is van voorwaardelijke toelating rekening moet worden gehouden met al aanwezig bewijs.
Het Zorginstituut doet dit vanzelfsprekend: bij de beoordeling of een (farmaceutische) interventie voldoet aan het criterium 'de stand van de wetenschap en praktijk' betrekt het Zorginstituut alle relevante literatuur over de effectiviteit van de interventie. De werkwijze is beschreven in het recent geactualiseerde rapport 'Beoordeling stand van de wetenschap en praktijk'.[17]

Nefarma zou graag een schematische weergave hebben van het gehele proces van voorwaardelijke toelating en nadere verduidelijking van een aantal taken van partijen. Ook vraagt Nefarma of elke patiënt mee moet doen aan een studie om voor vergoeding in aanmerking te komen.
In het advies is een tabel opgenomen waarin de stappen van de procedure en de tijdslijnen staan vermeld. In het overleg met VWS zijn nog niet alle termijnen vastgesteld; wij hopen binnenkort een gedetailleerder schema in een zgn. procedurebrief op onze website te kunnen plaatsen. Ook komt binnenkort een 'model-convenant' beschikbaar, dat houvast biedt aan de opstellers en de deelnemende partijen van het convenant.
Inderdaad is het zo, gezien de regelgeving, dat iedere patiënt moet deelnemen aan een studie (hoofdonderzoek of nevenonderzoek) om voor vergoeding in aanmerking te kunnen komen. De minister van VWS heeft in 2014 de redenen hiervoor uitgelegd in haar Kamerbrief over voorwaardelijke toelating.[8]

Tenslotte geeft Nefarma aan dat het eisen van een extra RCT voor geneesmiddelen om diverse redenen geen realistische eis is.
Hierin verschillen wij van mening met de brancheorganisatie. De eisen voor de registratie van een geneesmiddel zijn niet altijd hetzelfde als die voor de vergoeding van een geneesmiddel. Bij de beoordeling van het wettelijk criterium 'de stand van de wetenschap en praktijk' gaat het Zorginstituut na welke gegevens nodig zijn om tot een positief oordeel te kunnen komen. Dit kunnen gegevens uit een (extra) RCT zijn, soms kunnen ook gegevens uit een onderzoek met een ander design volstaan. Het Zorginstituut bekijkt dit van geval tot geval en betrekt altijd de professionals hierbij.

Naast deze algemene opmerkingen noemt Nefarma nog enkele specifieke opmerkingen en vragen. Inmiddels heeft het Zorginstituut deze in een brief aan Nefarma geadresseerd.

4.6 Nefemed

Brancheorganisatie Nefemed is verheugd met de nieuwe werkwijze om vooraf goede afspraken met elkaar vast te leggen in een convenant. Nefemed heeft echter nog wel een aantal zorgen. Deze gaan over de flexibiliteit in de procedure en de

[17] Te downloaden vanaf www.zorginstituutnederland.nl. Volgnummer 2014116583, januari 2015.

regelgeving, de criteria voor beoordeling, de doorlooptijd en de financiering van de voorwaardelijk toegelaten zorg en het daaraan gekoppelde onderzoek.
Nefemed heeft over deze zaken al overleg gehad met het ministerie van VWS[18] en het Zorginstituut heeft inmiddels op enkele specifieke vragen per brief gereageerd.

4.7 NVZ

De NVZ benadrukt dat het voor de leden van groot belang is over een regeling te beschikken die het mogelijk maakt om innovaties bekostigd te krijgen. De procedure van afgelopen jaar is naar de mening van de NVZ soepel verlopen. De NVZ-leden die een aanvraag voor voorwaardelijke toelating hebben ingediend hebben laten weten tevreden te zijn over het verloop van het proces. De NVZ blijft echter kritisch over de gehele besluitvormingsprocedure met name vanwege de lange tijd die het kost, en signaleert dat het kennelijk lastig is om alle losse eindjes vooraf te regelen. De NVZ is graag bereid samen na te gaan op welke punten de procedure sneller of efficiënter kan verlopen.

4.8 ZN

De brancheorganisatie ZN noemt enkele algemene opmerkingen. Allereerst is ZN teleurgesteld over de vormgeving van de voorwaardelijke vergoeding, namelijk via voorwaardelijke toelating tot het pakket. Liever zou ZN zien dat één en ander buiten het pakket om geregeld wordt, zodat de zorg gecontroleerd kan worden aangeboden en zorgverzekeraars niet belast zijn met de uitvoering. Zorgverzekeraars, zorgaanbieders en patiënten ondervinden op dit moment veel onzekerheden in de uitvoering van de voorwaardelijke toelating, onder andere wat betreft ingangsdata en declaratiebepalingen.
Wat betreft de uitvoeringsproblematiek is het Zorginstituut het eens met ZN dat er nog lastige punten zijn op te lossen. Het tijdig beschikbaar zijn van herkenbare declaratieproducten blijft een punt van zorg. Wij zijn hierover in gesprek met de NZa en DBC-Onderhoud. Het gegeven dat de regelgeving voor voorwaardelijke toelating nu meerdere malen per jaar gewijzigd kan worden, is lastig voor zorgverzekeraars, die éénmaal per jaar hun inkoopcontracten en polissen opmaken. Wij en andere partijen zijn echter van mening dat de toegenomen flexibiliteit een duidelijke verbetering is.

ZN is van mening dat de procedure van indiening en toetsing inmiddels duidelijk is verbeterd, maar zou graag zien dat toekomstige onderwerpen een grotere doelgroep betreffen, met meer impact op de dagelijkse zorgverlening.
Wij gaan ervan uit dat met de mogelijkheid om top-down, dus in aansluiting op een negatief standpunt van het Zorginstituut een dossier in te dienen, ook onderwerpen met een grotere doelgroep aan de orde zullen komen.

Naast deze algemene opmerkingen heeft ZN nog inhoudelijke opmerkingen en vragen. Deze zijn inmiddels door ons in een brief aan ZN beantwoord.

4.9 Conclusie van de consultatieronde

De ontvangen reacties overziend, concluderen wij dat de partijen overwegend positief zijn over de wijzigingen in de regelgeving en over de geselecteerde onderwerpen. Wel is er vanuit de koepels en brancheorganisaties kritiek op de tijd

[18] De reactie van de minister van VWS is op 20 maart jl. verzonden naar de Tweede Kamer. Kenmerk 720185-1327773-Z. http://www.rijksoverheid.nl/ministeries/vws/documenten-en-publicaties/kamerstukken/2015/03/20/aanbieding-afschrift-brief-over-voorwaardelijke-toelating.html

die de gehele voorbereiding van een voorwaardelijk toelatingstraject beslaat. Dit lijkt op gespannen voet te staan met de dynamiek van de medische ontwikkelingen. Innovaties zouden volgens de brancheorganisaties op zo kort mogelijke termijn beschikbaar moeten komen voor de verzekerde.
Deze laatste visie delen wij niet. Wij zijn van mening dat een goede voorbereiding van groot belang is voor het welslagen van een voorwaardelijke toelatingstraject. Er is draagvlak nodig voor de uitvoering van het onderzoek én voor de implementatie van de resultaten van het onderzoek. Niemand is gebaat bij een mislukkend onderzoek of bij resultaten die niet van voldoende kwaliteit zijn en voor discussie zorgen bij de partijen in de zorg. Pas als door middel van dergelijk onderzoek is aangetoond dat een innovatie een waardevolle aanwinst is voor het basispakket verdient het een definitieve plaats in dat pakket. De winst van het voorwaardelijke toelatingsinstrument is dat het ervoor kan zorgen dat voor geselecteerde interventies er zo snel mogelijk gedegen bewijs voor het wel of niet effectief zijn van de interventie wordt verzameld. Daarmee wordt de uiteindelijke toegankelijkheid van de betreffende zorg wel degelijk bevorderd ten opzichte van de eerdere situatie. Verder is meermalen geconstateerd dat het toegankelijk maken van zorg die nog niet voldoende evidence-based is, schade kan toebrengen aan de patiënt. Voorwaardelijke toelating draagt eraan bij om dit te voorkomen.
We wijzen er tenslotte op dat de partijen zelf invloed hebben op de snelheid van het proces.

5 Conclusies en advies

5.1 Conclusies

Met het voorwaardelijke toelatingsprogramma hebben we nu enkele jaren ervaring opgedaan. Die ervaring leert ons dat de voorbereiding en de uitvoering van een voorwaardelijk toelatingstraject verder verbeterd kunnen worden. Het Zorginstituut is nog steeds van mening dat het beter is om de voorwaardelijke toelating te realiseren door middel van een subsidieregeling en de zorg alleen te laten leveren door centra die het (hoofd)onderzoek uitvoeren, met name vanwege de mogelijkheid om restricties aan te brengen zoals het aanwijzen van specifieke zorgaanbieders en het instellen van een financieel plafond.[19] De verwachting is ook dat dan het hoofdonderzoek eerder van start kan gaan, omdat er minder administratieve lasten in het voortraject geregeld hoeven te worden.
De keuze om de zorg (tijdelijk) toe te laten tot het basispakket, maakt het lastig voor zorgverzekeraars om te controleren of de zorg wordt aangeboden in overeenstemming met de voorwaarden aangezien er vaak geen unieke zorgproducten zijn. Het Zorginstituut is wel in gesprek met de NZa en DBC-Onderhoud om er voor te zorgen dat deze unieke zorgproducten worden gecreëerd.
N.a.v. van de ervaringen in de afgelopen jaren zijn er wijzigingen in de regelgeving gekomen. De wijzigingen op een rij:

- Aan de vergoeding in het kader van voorwaardelijke toelating is nu een onderzoeksplicht gekoppeld. Het onderzoek dat uitgevoerd wordt, is in ieder geval een methodologisch hoogwaardige studie (het hoofdonderzoek), die gegevens van voldoende kwaliteit levert voor het Zorginstituut om een oordeel te kunnen vellen of de interventie voldoet aan de stand van de wetenschap de praktijk. Daarnaast kan, indien medisch verantwoord, de zorg ook aangeboden worden aan verzekerden die niet kunnen deelnemen aan het hoofdonderzoek, mits de gegevens worden verzameld in een nevenonderzoek (observationele studie, patiëntenregistratie). Het Zorginstituut is van mening dat dit een verbetering is ten opzichte van de beginsituatie.
- De voorbereiding van een voorwaardelijk toelatingstraject verloopt nu gefaseerd, en er is een extra beslismoment voor de minister van VWS ingebouwd. Pas als alle betrokken partijen afspraken met elkaar hebben gemaakt over een succesvolle uitvoering van het traject, neemt de minister een definitief besluit en wordt de regelgeving gewijzigd. Met name het punt dat partijen het vooraf met elkaar eens moeten zijn over welk effectverschil klinisch relevant is, is van belang. Daarnaast bereiken we op deze manier dat de voorwaardelijke toelating begint op het moment dat het onderzoek in de startblokken staat: niet te vroeg en niet te laat. Het Zorginstituut juicht deze wijziging toe: het leidt tot een toename van de kans op succes van een voorwaardelijk toelatingstraject, en helpt discussies achteraf en onrust voorkomen. Het is immers zoals bekend uiterst moeilijk om zorg die eenmaal vergoed wordt, te ‘verwijderen’ uit het pakket.
- Het voorwaardelijke toelatingsprogramma groeit: het is sinds 2013 uitgebreid naar extramurale geneesmiddelen en extramurale hulpmiddelen. Dit is een goede ontwikkeling.
- Verheugend is verder dat er sinds kort een jaarlijks oplopend, geoormerkt budget beschikbaar is. Dit is mogelijk dankzij de lager dan geraamde uitgaven voor geneesmiddelen. Dit budget is bedoeld voor de vergoeding

[19] Zie de argumentatie in de eerdere rapporten over voorwaardelijke toelating/financiering van zorg. www.zorginstituutnederland.nl.

van zorg geleverd in het kader van voorwaardelijke toelating, en uitsluitend indien de verzekerde deelneemt aan onderzoek. Voor wat betreft de kosten van uitvoering van het onderzoek gaat de minister ervanuit dat dit door industrie of andere partijen wordt gefinancierd. Indien dit aantoonbaar niet mogelijk blijkt, is er een beperkt budget beschikbaar in het Programma DoelmatigheidsOnderzoek van ZonMw.

5.2 Overzicht van de stappen in de procedure en de bijbehorende publicaties van het Zorginstituut

1. Het indienen van een dossier	A. top-down Na negatief standpunt van en op uitnodiging van het Zorginstituut. Indienen binnen 3 maanden. *Publicatie van het Zorginstituut: advies of één interventie een potentiële kandidaat is voor voorwaardelijke toelating, meerdere malen per jaar mogelijk*.
	B. bottom-up Initiatief bij partijen, éénmaal per jaar indieningsronde (mei – sept). *Publicatie van het Zorginstituut: advies over potentiële kandidaten voor voorwaardelijke toelating, meerdere interventies, éénmaal per jaar (april).*
2. Het voorbereiden van een traject	Partijen werken afspraken binnen zes maanden uit in een convenant. *Publicatie van het Zorginstituut: advies convenant, meerdere malen per jaar mogelijk.*
3. Het uitvoeren van een traject	Klankbordgroep bijeenkomst tweemaal per jaar, bijhouden van ontwikkelingen in kosten en volume. *Publicatie van het Zorginstituut: voortgangsrapportage éénmaal per jaar (juni).*
4. De eindevaluatie van een traject	Overleggen van resultaten hoofdonderzoek 6 maanden vóór beëindiging van het traject. *Publicatie van het Zorginstituut: nieuw standpunt over de stand van de wetenschap en praktijk, meerdere malen per jaar mogelijk.*

5.3 Advies aan de minister van VWS

Zorginstituut Nederland adviseert de minister de volgende drie veelbelovende interventies aan te merken als potentiële kandidaten voor voorwaardelijke toelating:

- occipitale neurostimulatie voor de indicatie ernstige clusterhoofdpijn;
- hoge dosis cytostatica en stamceltransplantatie voor de indicatie stadium III BRCA1-like borstkanker;
- cytoreductieve chirurgie gecombineerd met HIPEC voor de indicatie maagcarcinoom met synchrone buikvliesmetastasen of tumorpositief buikvocht.

6 Vaststelling advies

De Raad van Bestuur van Zorginstituut Nederland heeft het advies op 13 april 2015 vastgesteld en uitgebracht aan de minister van VWS.

Zorginstituut Nederland

Voorzitter Raad van Bestuur

Arnold Moerkamp

7 Bijlagen

Bijlage 1.

Titel	Occipitale zenuwstimulatie in onbehandelbare chronische cluster hoofdpijn
Ingediend door	**Nederlandse Vereniging voor Anesthesiologie Utrecht,** LUMC Leiden, Erasmus MC Rotterdam, Canisius Wilhelmina Zkh Nijmegen, Atrium Medisch Centrum Heerlen.
Kenmerken aandoening	Cluster hoofdpijn wordt gekarakteriseerd door kortdurende zeer zware unilaterale hoofdpijnaanvallen gecombineerd met autonome verschijnselen aan dezelfde kant van het gelaat (roodheid en zweten, tranen van het oog, verstopte neus en dergelijke) en bewegingsdrang. De duur van een enkele aanval varieert van 15 tot 180 minuten. De prevalentie van cluster hoofdpijn in de Nederlandse bevolking is 0,05%, hiervan heeft 10-15% de chronische variant. Ongeveer 10-20% hiervan reageert niet op medicatie. De incidentie van onbehandelbare chronische clusterhoofdpijn wordt door de onderzoekers geschat op 67 patiënten per jaar. Er zijn internationale criteria voor het stellen van de diagnose clusterhoofdpijn. Deze worden ook door het Nederlandse Huisartsen Genootschap en de Nederlandse vereniging voor Neurologie gehanteerd. De pijn van ernstige cluster hoofdpijn wordt beschreven als ondraaglijk. De aandoening heeft een sterke negatieve invloed op patiënten in sociaal opzicht. Uit verschillende studies uit de Verenigde Staten[20] en Europa[21] blijkt dat suïcidale gedachten vanwege de ernst van de pijn vaak voorkomen (tot 55%), en dat ongeveer 25% van de patiënten met cluster hoofdpijn niet meer in staat is te werken of aan sociale activiteiten deel te nemen. De kwaliteit van leven is significant lager dan bij patiënten met migraine. Bovendien is er een grote comorbiditeit met psychiatrische aandoeningen als depressie en agorafobie.
Te onderzoeken interventie	De te onderzoeken interventie is het via een onderhuids geplaatste electrode stimuleren van de occipitale zenuwen (ONS: Occipital NeuroStimulation). De electrode is verbonden met een neurostimulator. De behandeling wordt multidisciplinair uitgevoerd, door neurologen, neurochirurgen en anesthesiologen. De effectiviteit en veiligheid van ONS zijn beschreven bij een andere indicatie, namelijk migraine. Op de korte termijn lijkt bij deze indicatie de behandeling effectief, er zijn echter geen lange termijns gegevens. De gerapporteerde complicatiefrequentie (zoals infectie, draad-verplaatsing en technisch falen) is ongeveer 15%. ONS is bij chronische cluster hoofdpijn onderzocht in enkele kleine case series, waarin het aantal geïncludeerde patiënten ligt tussen de 8 en de

[20] Rozen TD, Fishman RS. Headache 2012; 52: 99-113.
[21] Jurgens TP, et al. Cephalalgia 2011; 31: 671-82.

	15. Occipitale neurostimulatie lijkt een gunstig effect te hebben bij een deel van de behandelde patiënten zoals blijkt uit een reductie in hoofdpijnfrequentie of een verbetering van de kwaliteit van leven. De patiënttevredenheid was 70-90%.
Standaard interventie	De standaardbehandeling is opgebouwd uit een acute behandeling tijdens een aanval en een preventieve behandeling om aanvallen te voorkomen. Acute behandeling bestaat uit medicatie (sumatriptan injecties) en eventueel toediening van zuurstof. Voor de preventieve behandeling worden diverse medicijnen gebruikt, zoals o.a. verapamil, lithium, pizotifeen, steroïden.
Onderzoeksvoorstel	Het betreft een gerandomiseerde dubbelblinde studie. De studie is in 2010 gestart en wordt internationaal uitgevoerd (9 universitaire en perifere centra in Nederland, verder deelname van centra in Londen, Luik, Boedapest en Keulen). Er wordt gerandomiseerd voor hoogfrequente versus laagfrequente stimulatie. De laagfrequente stimulatie dient als placebobehandeling. Een sham (geen stimulatie) behandeling is niet zinvol omdat dit door patiënten wordt opgemerkt vanwege het ontbreken van paraesthesieën. De patiëntenpopulatie bestaat uit patiënten met onbehandelbare chronische clusterhoofdpijn volgens de internationale criteria. De primaire uitkomstmaat is de aanvalsfrequentie na 6 maanden. Een afname van 30% of meer wordt als klinisch relevant beschouwd. Er zijn 76 van de in totaal 144 benodigde patiënten geïncludeerd (sept. 2014; alle in Nederland). De follow-up duur is 12 maanden. De firma Medtronic biedt ondersteuning in de vorm van financiering van een promovendusplaats en de levering van de neurostimulatie implantaten. De onderzoekers geven aan dat de inclusie tot nu toe te traag is verlopen door onvoldoende financiering van met name de kosten van de implantatie zelf (opname en operatie). Om die reden is er een wachtlijst ontstaan voor deelname aan de studie. De verwachting is dat voorwaardelijke toelating tot het pakket de studie kan vlottrekken, zodat deze binnen 3 jaar na start van de voorwaardelijke toelating succesvol beëindigd kan worden.
Verwachte meerwaarde effectiviteit	De verwachting is dat de aanvalsfrequentie van de cluster hoofdpijn zal afnemen met 30% of meer. Er is overeenstemming dat dit een klinisch relevant verschil is.
Verwachte meerwaarde kosteneffectiviteit	Als de behandeling effectief is, zal dit leiden tot een verbetering in het functioneren van de patiënt, waaronder minder ziekteverzuim e.d. Ook wordt een afname van het (dure) medicatiegebruik en van de bijwerkingen daarvan verwacht. Er zijn vrijwel geen economische evaluaties verricht over deze relatief weinig voorkomende aandoening. Wel is in een Duitse studie in kaart gebracht wat de direct en indirecte kosten zijn van ernstige cluster hoofdpijn. Deze bedroegen in totaal ongeveer € 6000/6 mnd (2011).[22] Een (langdurig) succesvolle occipitale neurostimulatie zal daarom naar verwachting kosteneffectief zijn.

[22] Gaul C, et al. Cephalalgia 2011; 31: 1664-72.

Kostenprognose	In het onderzoek zijn nu 76 patiënten geïncludeerd. Voor een succesvol afronden van de studie dienen nog 68 patiënten te worden geïncludeerd. Alle patiënten worden behandeld met ONS. Verder zijn we er in de kostenprognose van uit gegaan dat alle patiënten in Nederland zullen worden geïncludeerd. De kosten van de implantatie van de neurostimulator bedragen €27.243. Bij ongeveer 20% van de patiënten is een revisie van de electrode of de stimulator nodig en na drie jaar dient bij 80% van de patiënten de neurostimulator vervangen en bij 20% verwijderd te worden. Dit brengt extra kosten met zich mee. **De kostenprognose voor een succesvolle afronding van het hoofdonderzoek bedraagt:** **68 * €27.243 + €880.476 (extra kosten) = €2.733.000[23].** Daarnaast is de verwachting dat een niet-vergelijkend nevenonderzoek zal worden opgezet dat circa 2,25 jaar zal duren. Het maximale aantal patiënten dat per jaar in aanmerking komt voor de behandeling is 67[24]. Het totale aantal patiënten dat behandeld zal worden in het nevenonderzoek (67*2,25) = 151. **De kostenprognose voor het nevenonderzoek is:** **151 * €27.243 + (€542.576 extra kosten) = €4.649.458[23].**
Ondersteund door beroepsgroep/ patiëntenvereniging	Ingediend door de Nederlandse Vereniging voor Anesthesiologie Aanbeveling van de Nederlandse Vereniging voor Neurologie Aanbeveling van de Vereniging voor Neuromodulatie Nederland Aanbeveling van de Stichting Clusterhoofdpijn Nederland (patiëntenorganisatie) Aanbeveling van de Nederlandse Vereniging van Hoofdpijnpatiënten.
Periode van voorwaardelijke toelating	Ongeveer 3,5 jaar.
CE-markering	De neurostimulator die in dit voorstel zal worden gebruikt heeft een CE-keurmerk voor de indicatie pijn posterieure romp. De onderzoekers geven aan dat fabrikant Medtronic voor de te onderzoeken indicatie een CE-keurmerk zal aanvragen zodra de voorwaardelijke toelating is goedgekeurd.
Oordeel ZonMw over onderzoeksvoorstel	Voldoende. De Commissie EEK noemt een aantal aandachtspunten die dienen te worden geadresseerd in de voorbereidingsfase van de voorwaardelijke toelating, gesteld dat die fase gestart mag worden. Verder vraagt ZonMw zich af of inzet van publieke middelen voor subsidie van het onderzoek voor dit al lopende onderzoek wenselijk is, gezien de betrokkenheid van fabrikant Medtronic.

[23] Het is op dit moment niet bekend of en in welke mate er een reductie zal zijn van medicatiegebruik. Daarom is dit niet opgenomen in de kostenprognose.

[24] Dit aantal is gebaseerd op het aantal nieuwe patiënten dat jaarlijks in aanmerking komt voor de behandeling en een deel van 76 patiënten die al hebben deelgenomen aan de RCT en op dit moment deelnemen aan een vervolgonderzoek.

Titel	**Substantiële verbetering van de overleving van stadium III, BRCA-1-like borstkanker patiënten met doelgerichte behandeling**
Ingediend door	**NKI-AvL Amsterdam**, Erasmus MC Rotterdam, VU MC Amsterdam, UMC Groningen, LUMC Leiden, MUMC Maastricht, Radboud MC Nijmegen, UMC Utrecht.
Kenmerken aandoening	Borstkanker is de meest voorkomende maligniteit bij vrouwen. In 2011 was het aantal nieuwe gevallen van borstkanker bijna 14.000. Ongeveer 7,5% van alle borstkankers is BRCA1-like. Dit type borstkanker is zeer agressief en komt vooral voor bij relatief jonge vrouwen. Patiënten met een stadium III (geen metastasen op afstand) BRCA1-like borstkanker hebben een meer dan 50% kans op overlijden binnen 10 jaar. In Nederland zullen er per jaar tussen de 90 en 120 stadium III, BRCA1-like, HER2-negatieve borstkanker patiënten gediagnosticeerd worden die 59 jaar of jonger zijn.
Te onderzoeken interventie	De te onderzoeken interventie behelst de combinatie van de BRCA1-like test met behandeling bestaande uit een hoge dosis alkylerende chemotherapie (HD-CTC) ondersteund met autologe stamceltransplantatie (ASCT). De interventie wordt adjuvant gegeven, wat inhoudt dat ze is gericht op eventueel aanwezige metastasen op afstand. Dit betekent dat een deel van de patiënten hier baat bij zal hebben, voor een ander deel van de patiënten is de therapie overbodig. Adjuvante therapie wordt gegeven nadat een inschatting is gemaakt van het risico van metastasering op afstand. De BRCA1-like test is tot nu toe alleen retrospectief onderzocht. Uit onderzoek blijkt dat BRCA1-like tumoren gevoelig zijn voor alkylerende middelen. De combinatie van hoge doses alkylerende cytostatica met autologe stamceltransplantatie wordt ook bij andere maligniteiten toegepast. In het verleden is uit Nederlands onderzoek gebleken dat er geen relevante meerwaarde was van deze therapie t.o.v. de standaard bij de gehele borstkanker populatie. Echter, uit subgroepanalyses bleek meerwaarde voor bepaalde patiënten met een hoog risico op metastasering aannemelijk. Als het voorgestelde onderzoek positieve resultaten oplevert betekent dit dat de combinatie HD-CTC met ASCT doelgericht kan worden ingezet, uitsluitend bij die patiënten die er het meest baat bij zullen hebben. Deze hoogspecialistische behandeling is geconcentreerd in een aantal centra (academisch en niet-academisch) die samenwerken in de Nederlandse Werkgroep voor Autologe Transplantaties bij Solide Tumoren, de NWAST. Via de landelijke pathologieregistratie (PALGA) worden alle patiënten die eventueel in aanmerking komen voor de behandeling geïdentificeerd. De eigen behandelaar wordt hiervan per e-mail op de hoogte gesteld, waarna hij in overleg met de patiënt deze kan verwijzen naar één van de deelnemende centra.
Standaard interventie	De standaard adjuvante behandeling bestaat uit de standaard risico-inschatting voor metastasen op afstand en, indien adjuvante therapie

	geïndiceerd is, de chemotherapie schema's zoals beschreven in de landelijke NABON richtlijn mammacarcinoom (2012). De standaardbehandeling is bij de te onderzoeken subgroep van borstkanker patiënten weinig effectief.
Onderzoeksvoorstel	In het onderzoeksvoorstel wordt in geval van een positieve BRCA1-like test de combinatie HD-CTC met ASCT vergeleken met de standaard adjuvante behandeling in een gerandomiseerd onderzoek met een follow-up van twee jaar. Het onderzoek wordt uitgevoerd bij patiënten jonger dan 60 jaar met stadium III BRCA1-like borstkanker. Oudere patiënten worden niet uitgenodigd voor dit onderzoek, omdat de te onderzoeken interventie een zware behandeling is. De verwachting is dat bij ouderen de nadelen van de behandeling groter zullen zijn dan de voordelen. De primaire uitkomstmaat is de overall overleving, daarnaast wordt o.a. ook de kwaliteit van leven gemeten.
Verwachte meerwaarde effectiviteit	De verwachting is dat de kans op overlijden binnen 10 jaar in deze hoog-risicogroep zal afnemen van 60% naar 15%. Dit betekent dat er in Nederland jaarlijks 30-50 minder, vaak jonge, vrouwen zullen overlijden aan borstkanker, en wereldwijd 3000-5000 minder. Omdat het om relatief jonge vrouwen gaat, zal deze nieuwe behandeling per jaar ongeveer 1350 gewonnen levensjaren opleveren in Nederland.
Verwachte meerwaarde kosteneffectiviteit	De te onderzoeken interventie (test + behandeling) is ongeveer €31.000 duurder dan de standaardbehandeling. Hierbij is inbegrepen het uitvoeren van de BRCA1-like test. Het aantal gewonnen levensjaren is 30 (uitgaande van genezing). De 'number to treat' is 2 à 3. Dat wil zeggen dat er twee à drie patiënten adjuvant behandeld moeten worden om bij één patiënt genezing te bereiken. Met kosten van rond de €3000 per QALY is dit (bij aangetoonde effectiviteit) een kosteneffectieve behandeling.
Kostenprognose	In het hoofdonderzoek[25] worden in totaal 80 patiënten geïncludeerd, waarvan de helft met de te onderzoeken interventie zal worden behandeld**.** De BRCA1-like test zal bij ongeveer 160 patiënten worden uitgevoerd. **De kostenprognose voor het hoofdonderzoek is:** **160 * €1000 (gem. kosten BRCA1-like test) +** **[40 * €45.000 (kosten te onderzoeken interventie) –** **40 * €15.000 (kosten standaardbehandeling)]** **= €1.360.000 in totaal.** Daarnaast is de verwachting dat een niet-vergelijkend nevenonderzoek zal worden opgezet dat 2,5 jaar zal duren. Het maximale aantal patiënten dat per jaar in aanmerking komt voor de behandeling is 40. Het totale aantal patiënten dat behandeld zal worden in het nevenonderzoek (40*2,5) = 100. **De kostenprognose voor het nevenonderzoek is:** **200 * €1000 (gem. kosten BRCA1-like test) +** **[100 * €45.000 (kosten te onderzoeken interventie) –** **100 * €15.000 (kosten standaardbehandeling)]** **= €3.200.000 in totaal.**

[25] Aan het onderzoek zullen alle Nederlandse behandelcentra mee doen die de interventie (chemotherapie en autologe stamceltransplantatie) kunnen geven.

Ondersteund door beroepsgroep/ patiëntenvereniging	Aanbeveling van de Nederlandse Vereniging voor Medische Oncologie (NVMO, wetenschappelijke vereniging) Aanbeveling van de Borstkankervereniging Nederland (patiëntenorganisatie).
Periode van voorwaardelijke toelating	Ongeveer 5,5 jaar (met name vanwege keuze voor harde klinische uitkomstmaat (overleving) i.p.v. surrogaat uitkomstmaat). NB. Er bestaat de mogelijkheid dat behandelcentra in het buitenland gaan deelnemen aan het onderzoek. Indien buitenlandse centra gaan deelnemen aan het onderzoek, dan zal de periode van voorwaardelijke toelating korter duren.
Oordeel ZonMw over onderzoeksvoorstel	Voldoende. De Commissie EEK noemt een aantal aandachtspunten, waaronder de haalbaarheid van het onderzoek, die dienen te worden geadresseerd in de voorbereidingsfase van de voorwaardelijke toelating, gesteld dat die fase gestart mag worden.

Titel	**Combinatiebehandeling van cytoreductieve chirurgie en hypertherme intraperitoneale chemotherapie (HIPEC) bij patiënten met een maagcarcinoom en synchrone buikvliesmetastasen en/of tumorpositief buikvocht**
Ingediend door	**NKI/AvL Amsterdam**, St Antonius Zkh Nieuwegein, HIPEC groep Nederland (zes centra).
Kenmerken aandoening	Het voorstel betreft patiënten met een maagcarcinoom met beperkte peritonitis carcinomatosa (PC) en/of met tumorpositieve cytologie van het buikvocht. Deze patiënten hebben zonder behandeling een zeer slechte prognose: de helft is 3-4 maanden na de diagnose overleden. De incidentie van maagcarcinoom is in Nederland 2.000/jaar. Bij 10% hiervan is er sprake van peritonitis carcinomatosa zonder metastasen elders in het lichaam. Ongeveer de helft hiervan komt in aanmerking voor de te onderzoeken behandeling. Daarnaast is er een groep patiënten met tumorpositieve cytologie ten tijde van de primaire ingreep. Zij komen eveneens in aanmerking. In totaal gaat het per jaar om ongeveer 130 patiënten.
Te onderzoeken interventie	De te onderzoeken interventie bestaat uit een combinatie van cytoreductieve chirurgie en hypertherme intraperitoneale chemotherapie (HIPEC). De chirurgische ingreep houdt in het verwijderen van de maagtumor, alle zichtbare metastasen in de buikholte en de lymfklieren. Hierna wordt de buik gevuld met spoelvloeistof waaraan chemotherapie is toegevoegd en die is verwarmd. De verhoogde temperatuur verbetert de penetratie van de chemotherapie in het weefsel en versterkt het effect van de chemotherapie op de tumorcellen. De combinatie cytoreductieve chirurgie en HIPEC behoort tot het verzekerde basispakket voor de diagnose coloncarcinoom met buikvliesmetastasen. HIPEC als stand alone behandeling wordt op dit moment onderzocht, in het kader van voorwaardelijke toelating tot het basispakket, bij patiënten met een status na coloncarcinoom en een hoog risico op buikvliesmetastasen.
Standaard interventie	De standaardbehandeling bestaat uit palliatieve zorg, waarvan ook chemotherapie deel kan uitmaken ('best supportive care' en 'palliatieve chemotherapie'). Hiervoor worden diverse chemotherapie schema's gebruikt, waarbij niet bekend is of er een bepaald schema superieur is, en zo ja, welk. De respons op systemisch toegediende chemotherapie is laag, waarschijnlijk door de bloed-peritoneale barrière waardoor de chemotherapie slecht doordringt tot de metastasen in de buikholte. Behandeling met palliatieve chemotherapie bij deze indicatie vindt inmiddels bij ongeveer de helft van de patiënten plaats. Dit heeft echter geen invloed gehad op de mediane overleving. Curatie is dus met de huidige standaardbehandeling niet mogelijk. Palliatieve chemotherapie is kostbaar: rond €60.000 per patiënt per jaar.
Onderzoeksvoorstel	In het voorstel wordt de te onderzoeken interventie (cytoreductieve chirurgie + HIPEC) in een gerandomiseerde studie vergeleken met de huidige standaardbehandeling best supportive care, waarvan dus ook

	chemotherapie deel uitmaakt. Het onderzoek wordt uitgevoerd bij die patiënten die in staat zijn om deze intensieve behandeling te ondergaan. Het primaire eindpunt is de overall overleving, daarnaast wordt ook o.a. de kwaliteit van leven gemeten. De follow-up duur is 2 jaar.
Verwachte meerwaarde effectiviteit	De verwachte meerwaarde is een verlenging van de mediane overlevingsduur van 6 naar tenminste 12 maanden, een verbetering van de kwaliteit van leven en bij een selecte groep van patiënten genezing.
Verwachte meerwaarde kosteneffectiviteit	De kostprijs van de interventie is ongeveer €25.000. Een deel van de patiënten zal niet meer behandeld worden met de veel duurdere, maar vaak niet effectieve palliatieve chemotherapie. De verwachting is dus dat de nieuwe behandeling (zeer) kosteneffectief zal zijn. Er zijn enkele economische evaluaties gepubliceerd van cytoreductieve chirurgie met HIPEC bij andere indicaties. De kosten per gewonnen levensjaar lopen in deze studies uiteen van €11.900 tot €21.900.
Kostenprognose	In het hoofdonderzoek[26] worden in totaal 52 patiënten met de te onderzoeken interventie behandeld. Een deel hiervan zal niet met palliatieve chemotherapie worden behandeld, zodat de kosten hiervan worden uitgespaard. Aangezien niet bekend is hoe groot dit deel is, nemen we deze besparing niet mee in de kostenprognose. **De kostenprognose voor het hoofdonderzoek is:** **52[27] * €25.000 (gem. kosten chirurgie + HIPEC) = €1.300.000.** Daarnaast is de verwachting dat een niet-vergelijkend nevenonderzoek zal worden opgezet dat 3[28] jaar zal duren. Het maximale aantal patiënten dat per jaar in aanmerking komt voor de behandeling is 120. Het totale aantal patiënten dat behandeld zal worden in het nevenonderzoek (120*3) = 360. **De kostenprognose voor het nevenonderzoek is:** **360 * €25.000 = €9.000.000.**
Ondersteund door beroepsgroep/ patiëntenvereniging	Aanbeveling van de Dutch Upper GI Cancer Group (interdisciplinaire werkgroep van de wetenschappelijke verenigingen NVVH, NVVP, NVRO, NVMO en NVMDL Aanbeveling van de Nederlandse Vereniging voor Gastro-Intestinale Chirurgie (NVGIC) Aanbeveling van de HIPEC-groep Nederland, aspirant-werkgroep onder de Nederlandse Vereniging voor Chirurgische Oncologie (NVCO) Aanbeveling van de Stichting voor Patiënten met kanker aan het Spijsverteringskanaal (SPKS).
Periode van voorwaardelijke toelating	vijf à zes jaar (met name vanwege keuze voor harde klinische uitkomstmaat (overleving) i.p.v. surrogaat uitkomstmaat). NB. Er bestaat de mogelijkheid om de effectiviteit van de interventie op

[26] Aan het onderzoek zullen alle Nederlandse HIPEC behandelcentra deelnemen.
[27] Indien gekozen wordt voor een surrogaat uitkomstaat als primaire uitkomstmaat, dan kan dit aantal veranderen.
[28] Indien gekozen wordt voor een surrogaat uitkomstmaat als primaire uitkomstmaat, dan zal het nevenonderzoek korter duren. De verwachting is dat het nevenonderzoek dan circa 1,5 jaar zal duren.

	basis van een surrogaat uitkomstmaat te bepalen. Indien gekozen wordt voor een surrogaat uitkomstmaat als primaire uitkostmaat, dan zal het voorwaardelijke toelatingstraject korter duren.
Oordeel ZonMw over onderzoeksvoorstel	Voldoende. De Commissie EEK noemt een aantal aandachtspunten, waaronder de haalbaarheid, die dienen te worden geadresseerd in de voorbereidingsfase van de voorwaardelijke toelating, gesteld dat die fase gestart mag worden.

Bijlage 2. Reacties van partijen

Reactie van NHG:

Van: Jako Burgers [mailto:J.Burgers@nhg.org]
Verzonden: maandag 23 februari 2015 19:04
Aan: Schelleman, mw. H.
CC: Turkan Yigen; Hetty Papendorp
Onderwerp: RE: bestuurlijke consultatie concept-advies voorwaardelijke toelating 2016

Geachte mevrouw Schelleman,

Het concept-advies ziet er in grote lijnen gedegen uit en de adviezen zijn goed gemotiveerd. Het gaat om specialistische interventies die niet binnen het domein van de huisarts vallen. Vanuit het NHG hebben we geen inhoudelijk commentaar. Wel valt op dat de voorgestelde onderzoeken over borst- en maagkanker niet in internationaal verband plaatsvinden in tegenstelling tot het onderzoek over cluster hoofdpijn. Bij onderzoek naar de effectiviteit van kankerbehandelingen zou je dat wel verwachten. Wellicht dat dit nog kan worden toegelicht.

Wij wensen u succes met de afhandeling van het advies.

Met vriendelijke groet,

Jako Burgers

Jako S Burgers, MD, PhD
Head Dep. Guideline Development & Research
Dutch College of General Practitioners (NHG)
PO Box 3231 Utrecht
The Netherlands
Tel: +31 30 2823500
Cell phone: +31 621 180 851
E-mail: j.burgers@nhg.org
Website: www.nhg.org

Reactie van de Federatie Medisch Specialisten:

Van: Erik Leijzer [mailto:e.leijzer@demedischspecialist.nl]
Verzonden: donderdag 26 februari 2015 14:23
Aan: Schelleman, mw. H.
CC: Erik Leijzer
Onderwerp: RE: bestuurlijke consultatie concept-advies voorwaardelijke toelating 2016

Geachte mevrouw Schelleman,

Dank voor de gelegenheid om te reageren op het concept advies over voorwaardelijke toelating tot het basispakket in 2016. Zoals u weet is de Federatie Medisch Specialisten voorstander van het principe van voorwaardelijke toelating tot het basispakket. Na consultatie van de bij de drie geselecteerde onderwerpen betrokken wetenschappelijke verenigingen blijkt dat er draagvlak is voor deze onderwerpen. Derhalve is de Federatie Medisch Specialisten **positief** over de selectie van onderwerpen voor voorwaardelijke toelating tot het basispakket in 2016.

Ik hoop u hiermee voldoende te hebben geïnformeerd.

Met vriendelijke groet,

E.A. (Erik) Leijzer, MSc
Adviseur

Federatie
Medisch
Specialisten

Mercatorlaan 1200 • Postbus 20057 • 3502 LB Utrecht
0623710195 • • e.leijzer@demedischspecialist.nl
www.demedischspecialist.nl

Reactie van Medtronic:

Van: de Brouwer, Bonnie, drs. [mailto:bonnie.de.brouwer@medtronic.com]
Verzonden: vrijdag 6 maart 2015 19:35
Aan: Ligtenberg, mw. dr. G; Schelleman, mw. H.
CC: I.F.de_Coo@lumc.nl; van Eesteren, Martijn
Onderwerp: Voorwaardelijke toelating 2016: reactie op concept rapportage:

Geachte mevrouw Ligtenberg en mevrouw Schelleman, beste Gerry en beste Hedi,

Via Nefemed (de branche organisatie voor o.a. de medical device industrie) is het concept rapport voorwaardelijke toelating 2016 t.b.v. de consultatieronde aan mij voorgelegd. Ik was verheugd te lezen dat u een positief advies heeft uitgebracht aan de minister voor de therapie: occipitale zenuw stimulatie voor ernstige clusterhoofdpijn.

Graag wil ik u extra informatie verschaffen over een aantal passages die me opvielen in deze documentatie. In de passages waar e.e.a. wordt uiteengezet rondom deze therapie viel het me op dat Medtronic genoemd werd.

Pagina 27:
....Hoewel Medtronic een belangrijke sponsor is van de studie,....
Pagina 28:
....Verder vraagt ZonMw zich af of inzet van publieke middelen voor dit al lopende onderzoek wenselijk is, gezien de betrokkenheid van fabrikant Medtronic....

De betrokkenheid van Medtronic dan wel de samenwerking met Medtronic is echter niet juist vermeld. Er wordt de suggestie gewekt dat het om een door Medtronic gesponsorde studie zou gaan. Het is een "physician sponsored study" waarvoor Medtronic is gevraagd ondersteuning te bieden. Verzoeken van medisch specialisten, onderzoekers of onderzoeksinstituten aan Medtronic voor ondersteuning worden in alle gevallen door de Medtronic Neuromodulation European External Research Board (ERB), die bestaat uit verschillende disciplines zoals Clinical Management, Research, Regulatory en Biometrics, beoordeeld op onder meer wetenschappelijke criteria, uitvoerbaarheid, mogelijkheid de gevraagde ondersteuning te kunnen leveren en ethiek. De gevraagde ondersteuning voor dit project door professor Ferrari (LUMC) is door de ERB goedgekeurd en bestaat uit de kosten van een promovendus en de levering van de neurostimulatie implantaten.

Voorwaardelijke toelating van deze therapie zou data verzameling en de voorwaardelijke toegang tot deze zorg voor de patiënt een positieve impuls kunnen geven, zodat een gefundeerd standpunt over al dan niet opname in het basispakket op structurele basis gevormd kan worden. Het zou een onrechte conclusie zijn om dit t.g.v. de genoemde samenwerking in twijfel te trekken dan wel als reden op te voeren dat voorwaardelijke toegang tot het basispakket van deze therapie dan niet nodig zou zijn.

Wij zien het nut en de noodzaak van een dergelijke studie in en onderschrijven de noodzaak om deze therapie op te nemen als voorwaardelijke zorg.

Wij zouden het een groot gemis vinden wanneer ten gevolge van onjuiste informatie de kans op opname tot de voorwaardelijke toelating van deze therapie ten onrechte beïnvloed zou worden.

We willen dit graag in een persoonlijk gesprek samen met de onderzoekers of een vertegenwoordiger daarvan (bv. Dr. de Coo in cc) nader bespreken zodat dit op de juiste manier geadresseerd kan worden.

Met vriendelijke groeten,

Bonnie de Brouwer
Principal Reimbursement Analyst | Medtronic Trading NL BV | Earl Bakkenstraat 10 | 6422 PJ Heerlen | the Netherlands
T: +31 (0) 6 835 66 854 | @: bonnie.de.brouwer@medtronic.com | www.medtronic.nl

Welcome Covidien to Medtronic

Reactie van de NFU:

Van: Frank de Bos - NFU [mailto:Bos@NFU.nl]
Verzonden: donderdag 12 maart 2015 16:35
Aan: Schelleman, mw. H.
Onderwerp: Re: Bestuurlijke consultatie concept-advies voorwaardelijke toelating 2016

Geachte mevrouw Schelleman,

Wij gaan ervan uit dat het conceptadvies ook is voorgelegd aan de aanvragers van behandelingen die voor voorwaardelijke toelating zijn ingediend. Ten aanzien van de procedure voor de voorwaardelijke toelating verwijzen wij naar het commentaar dat wij bij het conceptadvies van de voorwaardelijke toelating in 2014 hebben gegeven.

met vriendelijke groet,

Frank de Bos
Coördinator Sturing & Financiering

Nederlandse Federatie van Universitair Medische Centra (NFU)
Postbus 9696
3506 GR Utrecht
tel: 030 - 27.39.880
fax: 030 - 27.39.532
e-mail: bos@nfu.nl
e-mail algemeen: nfu@nfu.nl
internetadres: www.nfu.nl
KvK Utrecht 40481193

nefarma

Zorginstituut Nederland
T.a.v. mevrouw H. Schelleman
Postbus 320
1110 AH DIEMEN

Den Haag, 13 maart 2015

Kenmerk: JO/JO/2015/00537
Betreft: Commentaar voorwaardelijke toelating tot het basispakket 2016

Geachte mevrouw Schelleman,

Allereest wil Nefarma het Zorginstituut bedanken voor de mogelijkheid om commentaar te kunnen leveren op de procedure "voorwaardelijke toelating tot het basispakket 2016". Wij hebben de procedure doorgenomen en hebben een aantal algemene opmerkingen en een aantal specifieke opmerkingen waar wij aandacht voor willen vragen.

Algemene opmerkingen:

- Voor geneesmiddelen geldt een zware registratielast in tegenstelling tot overige vormen van zorg. Om deze reden zal het voorwaardelijke toelatingstraject naar onze verwachting dan ook slechts bij uitzondering worden ingezet bij geneesmiddelen. Daar waar voorwaardelijke toelating wordt ingezet bij geneesmiddelen moet rekening worden gehouden met wat er al aan bewijslast ligt en zou de vraag naar verzameling van aanvullende bewijslast slechts beperkt moeten zijn.

- Het huidige document richt zich op de huidige regelgeving en procedure, voorbeelden uit de praktijk en aanbevelingen ter verbetering. Door middel hiervan worden het proces van besluitvorming en de taken van partijen toegelicht. Het is een vrij complex en lang proces met veel overleg tussen partijen, beslismomenten, overwegingen en administratie. Het proces wordt daarbij naar onze mening ad hoc toegelicht. Onze aanbeveling zou dan ook zijn om een "decision flow" diagram toe te voegen voor top-down en bottom-up procedures. (Wat zijn momenten van indienen, door wie en wanneer is welke beoordeling, wanneer zijn de klankbord bijeenkomsten, etc..) Daarbij verzoeken wij ook om verwachte tijdslijnen hierbij op te nemen. Ook willen wij verzoeken om een aantal zaken nader te specificeren/definiëren zoals de rol van ZIN en de rol van andere partijen zoals ZonMw, wat wordt er verstaan onder het convenant (onduidelijk is hoe deze eruit ziet en of hierin bijvoorbeeld een exit-strategie is opgenomen) en dient elke patiënt nu mee te doen aan een studie om voor vergoeding in aanmerking te komen? Dit laatste zal niet in alle gevallen mogelijk zijn.

Prinses Margrietplantsoen 39 | 2595 AM Den Haag | Postbus 11633 | 2502 AP Den Haag | t +31 (0)70 313 22 22 | f +31 (0)70 313 22 30 | info@nefarma.nl | www.nefarma.nl | KvK Utrecht 40482407 | BTW NL802049266B01 | IBAN NL58DEUT0448217430 | BIC DEUTNL2N

- Een extra RCT voor geneesmiddelen is geen realistische eis om te stellen vanuit het Zorginstituut Nederland, omdat de kans klein is dat er toestemming wordt gegeven door de ethische commissie. Daarnaast zal het ook bedrijfsmatig een grote impact hebben omdat het de toegang voor heel Europa raakt. Wij verzoeken dan ook een alternatief op te nemen in de procedure wanneer een RCT niet haalbaar of wenselijk is. Wij constateren dat er soms met twee maten wordt gemeten wat betreft de registratieverplichting en financiering van een RCT voor geneesmiddelen versus een RCT voor "medical devices".

Naast bovenstaande opmerkingen hebben wij de meer specifieke punten beschreven in de bijlage. Wij vragen u hier dan ook kennis van te nemen en de door ons aangedragen punten mee te nemen in het finaliseren van de procedure.

Indien u nog vragen heeft dan kunt u contact opnemen met ondergetekende, te bereiken op telefoon: 070 3132214 of e-mail j.oltvoort@nefarma.nl.

Met vriendelijke groet,

Jan Oltvoort
Senior Beleidsadviseur Gezondheidseconomie

Bijlage bij reactie Nefarma

Pagina 12 paragraaf 2 "en wordt desgewenst de regelgeving gewijzigd"

- Wat wordt hier precies bedoeld? Welke regelgeving en wat zou de wijziging in kunnen houden? Hoe kunnen we voorspellen of dit gebeurt en wat er dan gebeurt?

Pagina 13 laatste alinea "Het onderzoek naar de (kosten)effectiviteit van voorwaardelijk toegelaten zorg wordt in beginsel gefinancierd door de industrie/grote commerciële partijen."

- Wij willen u erop wijzen dat door eenzijdig de kosten bij de industrie neer te leggen dit een negatieve uitwerking kan hebben op de haalbaarheid van het onderzoek.

Pagina 13 laatste alinea "onderbouwd subsidieverzoek"

- Graag nadere toelichten omtrent dit punt zodat duidelijk wordt welk soort onderbouwing nodig is waardoor de uitkomst en de kosten voorspelbaar worden.

Pagina 15 paragraaf 2.5.1 "klankbordgroep bijeenkomst"

- De fabrikant zou hier een waardevolle bijdrage kunnen leveren in geval van geneesmiddelen

Pagina 19 laatste alinea "In de voorbereidingsfase zullen onderzoekers/aanbieders en het Zorginstituut gezamenlijk bepalen of er naast het hoofdonderzoek een nevenonderzoek zal plaatsvinden en zo ja, welke omvang en duur dat zal hebben."

- Dit kan aanzienlijke consequenties hebben voor de kosten en tijd in uitvoering.

Pagina 21 Conclusie

- Voorwaardelijke financiering en voorwaardelijke toelating lijken door elkaar te worden gebruikt.

Pagina 21 tweede punt "een extra beslismoment voor de minister van VWS"

- Hoeveel beslismomenten van de minister zijn er? Is er een planning waarin deze beslismomenten zijn beschreven?

Pagina 24 paragraaf 5.2 "het indienen van een dossier"

- Wij vinden de termijnen welke worden aangegeven vrij kort wanneer het gehele traject moet worden uitgewerkt na afwijzing.

NEFEMED
(GESPREKSPARTNER IN DE GEZONDHEIDSZORG)

Zorginstituut Nederland
t.a.v. mevrouw H. Schelleman
Postbus 320
1110 AH Diemen

Kenmerk : nfm.bri.13465225
Betreft : Conceptadvies Voorwaardelijke toelating 2016
Datum : 12 maart 2015

Geachte mevrouw Schelleman,

Hartelijk dank voor de mogelijkheid onze input te leveren voor het conceptadvies voor de voorwaardelijke toelating 2016. Wij hebben met belangstelling kennis genomen van de inhoud daarvan.

Zoals u weet is Nefemed voorstander van de mogelijkheid om innovaties tijdig beschikbaar te maken voor de patiënt. Al eerder hebben wij aangegeven waar wat ons betreft nog verbetering mogelijk is in de regeling en wij waarderen de open houding van het Zorginstituut om in gesprek met betrokken partijen te leren van de opgedane ervaringen. De nieuwe werkwijze om vooraf goede afspraken met elkaar vast te leggen in een convenant zien wij als een mooi resultaat daarvan.

U geeft in uw brief al aan dat de wijzigingen in de regeling -zoals opgenomen in de Uitvoeringstoets van 11 augustus 2014- in dit conceptadvies verwerkt zijn. In december 2014 hebben wij bij minister Schippers onze zorgen geuit over een aantal bepalingen in de Uitvoeringstoets. De onderwerpen die wij in deze brief aandragen komen een op een terug in uw conceptadvies. Onze zorgen zijn dus nog niet weggenomen.

Op hoofdlijnen betreft dit de volgende onderwerpen.

- Wij juichen toe dat het mogelijk wordt om **meerdere malen per jaar** een aanvraag voor de voorwaardelijke toelating in te dienen. Wij zijn echter van mening dat dit niet beperkt mag blijven tot de top-down-variant. Ook bottom-up zou dit mogelijk moeten zijn.

Nederlandse Federatie van producenten, importeurs en handelaren van medische producten (Nefemed)
Reitseplein 8, 5037 AA Tilburg, Postbus 90154, 5000 LG Tilburg. Telefoon: 013-594 43 42, Fax: 013-594 47 49.
E-mail: nefemed@wispa.nl Internet: www.nefemed.nl.
Bic INGBNL2A. IBAN NL73INGB0652307701

- De **doorlooptijd** van de voorwaardelijke toelating blijft lang en strookt daarmee niet met het tempo waarin innovaties in medische technologie plaatsvinden. In dit lange traject dient ook voldoende aandacht te zijn voor het tijdig beschikbaar komen van declaratiecodes. Goede afstemming is noodzakelijk.
- **Heldere criteria** zijn van groot belang in alle fasen van het VT-traject. Ze dragen bij aan de voortgang van het traject, zijn essentieel voor een goede communicatie en dragen bij aan het draagvlak voor genomen beslissingen. Wij constateerden dat de uitvoeringstoets nog een aantal vragen oproept. Bijvoorbeeld over de beoordeling van het ingediende dossier en keuze van de onderzoeksmethodiek.
- **Goede afspraken over het traject** van de voorwaardelijke toelating juichen wij van harte toe. Een convenant is daar een goed instrument voor, mits de juiste partijen daarbij betrokken zijn en vooraf duidelijk is welke afspraken binnen dat convenant gemaakt worden. Daar hoort bij dat verantwoordelijkheden duidelijk belegd zijn en dat helder is hoe de financiering van het traject geregeld is. In de uitvoeringstoets zien wij nog een aantal open einden die te maken hebben met de **financiering van de vergoede zorg en de kosten voor onderzoek**. Dit komt ook terug in uw conceptadvies voor de voorwaardelijke toelating 2016.

Deze en nog andere punten hebben wij uitvoerig beschreven in onze brief aan minister Schippers die wij daarom als bijlage bij deze brief voegen. Hoewel we blij zijn dat er aandacht is voor het steeds verbeteren van de regeling voorwaardelijke toelating, zijn wij van mening dat we er samen voor moeten zorgen dat we niet gaan 'overreguleren' en vervallen in bureaucratie en langere procedures.

Wij denken graag actief mee over de verdere ontwikkeling van de voorwaardelijke toelating en hebben met het ministerie van VWS besproken om op korte termijn met elkaar hierover in gesprek te gaan. Wij zouden het op prijs stellen als het Zorginstituut zou willen aansluiten bij dit overleg. Zodra wij deze datum gepland hebben, zullen wij u hierover informeren.

Met vriendelijke groet,

Roelf van Run
Directeur

NEFEMED
(GESPREKSPARTNER IN DE GEZONDHEIDSZORG

Ministerie van VWS
T.a.v. mevr. drs. E.I. Schippers
Postbus 20350
2500 EJ 'S-GRAVENHAGE

Kenmerk : nfm.bri.13434383
Betreft : Reactie op uitvoeringstoets Voorwaardelijke toelating van geneeskundige zorg tot het basispakket Zvw
Datum : 4 december 2014

Geachte minister Schippers,

Nefemed heeft kennis genomen van uw brieven aan de Tweede Kamer d.d. 10 juni 2014 en 19 september 2014[1] over aanpassingen in de regeling Voorwaardelijke toelating van geneeskundige zorg tot het basispakket Zvw. Ook heeft Nefemed kennis genomen van de Uitvoeringstoets d.d. 11 augustus 2014[2] zoals opgesteld door het Zorginstituut Nederland.

In januari 2014 heeft Nefemed een aantal verbeteringen voorgesteld in deze regeling. Wij waren verheugd om in uw brief aan de Tweede Kamer van 10 juni 2014 te lezen dat een aantal van deze verbetervoorstellen meegenomen werd in de voorziene aanpassing van de regeling.
Na het lezen van de uitwerking van de wijzigingen in de uitvoeringstoets heeft deze blijdschap plaats gemaakt voor verbazing en teleurstelling. Wij brengen daarom graag onze zorgen bij u onder de aandacht.

<u>Meerdere keren per jaar voorwaardelijk toelaten</u>
Nefemed constateerde dat slechts éénmaal per jaar een aanvraag voor voorwaardelijke toelating kon worden gedaan en dat de huidige procedure voor aanvraag zo'n anderhalf jaar bedraagt. Deze lange termijn staat haaks op een van de belangrijkste doelstellingen van voorwaardelijke toelating, namelijk het op korte termijn toegankelijk maken van veelbelovende innovatieve medische behandelingen voor de patiënt.

[1] Brief van minister Schippers d.d. 10-06-2014, kenmerk 383544-122172-GMT en brief d.d. 19-09-2014, kenmerk 663817-125980-Z
[2] Brief van het Zorginstituut Nederland aan minister Schippers d.d. 11 augustus 2014, kenmerk 201493168.

Nederlandse Federatie van producenten, importeurs en handelaren van medische producten (Nefemed)
Reitseplein 8, 5037 AA Tilburg, Postbus 90154, 5000 LG Tilburg. Telefoon: 013-594 43 42, Fax: 013-594 47 49.
E-mail: nefemed@wispa.nl Internet: www.nefemed.nl.
Bic INGBNL2A. IBAN NL73INGB0652307701

De gewijzigde regeling biedt nu de mogelijkheid om vaker dan één maal per jaar een interventie voor te dragen voor de voorwaardelijke toelating, maar deze mogelijkheid is beperkt tot de top-down procedure na een negatief standpunt van het Zorginstituut. Daarnaast staat in de uitvoeringstoets (p.7) dat de bottom-up procedure *vooralsnog* blijft bestaan. Wij zijn juist groot voorstander van verruiming van de aanvraagmomenten in deze procedure waar vanuit het veld een aanvraag wordt gedaan. Dit is nodig om de dynamiek van innovaties ruimte te bieden.
Als blijkt dat het woord 'vooralsnog' gaat betekenen dat in de toekomst alleen nog de top-down procedure mogelijk is, worden aanvragers nog meer afhankelijk wordt van de agenda en prioriteiten van het Zorginstituut. Het besluitvormingsproces kon dan nog wel eens langer gaan duren omdat er in de normale procedure geen uiterste termijnen zijn opgenomen. Voordat er dus een (negatief) besluit over een aanvraag wordt genomen kan al sprake zijn van een aanzienlijke vertraging voordat er überhaupt een mogelijk besluit tot het openstellen van de procedure voor voorwaardelijke toelating wordt genomen.
Overigens willen wij ten principale geen onderscheid maken tussen beide procedures. Er is geen objectieve reden in de uitvoeringstoets aangegeven die het maken van dit onderscheid onderbouwt.

Ten aanzien van de doorlooptijden zien wij geen verbetering in de uitvoeringstoets. Een eenvoudige rekensom levert op dat een doorlooptijd van aanvraag tot akkoord op de voorwaardelijke toelating nog steeds onaanvaardbaar lang blijft. Dit strookt op geen enkele manier met de wijze waarop innovaties binnen de medische technologie werken. In de bijlage hebben wij onze zorgen en andere vragen over de termijnen in het VT-traject op een rijtje gezet.

<u>Toegankelijkheid van zorg voor de patiënt</u>
Met de wetswijziging van 8 juli 2013 was de voorwaardelijk toegelaten zorg enkel nog toegankelijk voor patiënten die deelnamen aan het aan de toelating gekoppelde wetenschappelijk onderzoek. Nefemed is de mening toegedaan dat wanneer eenmaal (voorwaardelijk) toegelaten tot het basispakket, ook alle verzekerden ervoor in aanmerking moeten komen.

Deze aanspraak kan o.i. niet gefrustreerd worden door het feit dat de zorgverzekeraar deze zorg te beperkt heeft ingekocht. Transparantie over de aanspraak van deze innovatieve zorg van de kant van de zorgverzekeraar is noodzakelijk.

Alle betrokkenen aan tafel

Betrokkenheid van alle relevante partijen aan tafel verhoogt het draagvlak voor gemaakte keuzes. In de huidige regeling constateerden wij dat niet altijd al deze partijen (tijdig) aan tafel zaten.

In de uitvoeringstoets wordt aangegeven dat betrokken partijen vooraf afspraken voor de uitvoering van een VT-traject vastleggen in een convenant. Tot onze tevredenheid lezen wij hier dat fabrikanten ook genoemd worden. Terecht, want innovatie is immers het resultaat van intensieve samenwerking tussen fabrikanten, zorgprofessionals, patiëntenorganisaties, de wetenschap en organisaties als Zorginstituut Nederland en ZonMw. Iedere van deze partijen draagt bij vanuit zijn eigen expertise.
Het Zorginstituut geeft aan (p.14) dat de indieners van de aanvraag verantwoordelijk zijn voor het welslagen van het VT-traject en dat ze zelf de voorwaarden daarvoor ontwikkelen. Het Zorginstituut geeft aan in dit traject te willen faciliteren en adviseren. Het zou van grote waarde zijn als het Zorginstituut bij de ontwikkeling van het convenant adviseert over hetgeen eventueel nog ontbreekt in het convenant om tot een positief besluit van de minister te komen.
Op pagina 6 staat dat het Zorginstituut vervolgens de minister zal adviseren om op basis van de afspraken in het convenant wel of niet een VT-traject te starten. Dit lijkt een dubbelrol die lastig te verenigen is.

Op pagina 13 en 14 wordt gesproken over klankbordgroepen. Ons is niet duidelijk wat de functie is van deze klankbordgroepen en welke invloed zij uitoefenen op het proces.

Een aantal punten ten aanzien van de verantwoordelijkheid van betrokkenen is ons inziens nog onvoldoende uitgewerkt. Zo wordt bijvoorbeeld gesteld bij de exitstrategie voor het einde van de VT-periode (p.13, punt I) dat bij een negatief oordeel geregeld moet worden dat de behandeling vergoed wordt door een andere partij. Ons lijkt dat hierover vooraf duidelijkheid moet zijn. Welke kosten worden precies bedoeld en wie gaat wat betalen? Afspraken hierover kunnen in het convenant worden gemaakt. In de uitvoeringstoets wordt de fabrikant genoemd als degene die de behandeling dan vergoedt. Wij begrijpen niet waarom de fabrikant zou moeten betalen voor de resterende zorg. Ons inziens zijn er verschillende alternatieven te bedenken waarbij zoveel mogelijk moet worden aangesloten bij wat in de reguliere zorg gebruikelijk is. Daarnaast roept dit de vraag op of in het budgettair kader zorg (zie ook het volgende punt) daarmee rekening wordt gehouden.

Een heldere procedure

Heldere criteria zijn van groot belang in alle fasen van het VT-traject. Ze dragen bij aan de voortgang van het traject, zijn essentieel voor een goede communicatie en dragen bij aan het draagvlak voor genomen beslissingen.
Wij constateren dat de uitvoeringstoets nog veel vragen oproept ten aanzien van deze criteria. Voor het overzicht hebben wij deze vragen in de bijlage opgenomen.

Helderheid zal ook moeten gelden voor procedurele stappen zoals bijvoorbeeld het stopzetten van een VT-traject. Het huidige besluit geeft daar wel ruimte voor maar geen toelichting.

Helderheid is ook van belang voor de uitvoering van deze pilot. Het Zorginstituut noteert zelf al een aantal mogelijke risico's in de nieuwe werkwijze. Deze kunnen wij ook onderschrijven. Wij zijn met name benieuwd wat er gaat gebeuren als daadwerkelijk te weinig budget voorhanden is, terwijl een interventie op inhoud wel wordt goedgekeurd voor de voorwaardelijke toelating.
Op pagina 9 (4[e] bullit) lijkt hier al een voorschot op genomen te worden. Er staat namelijk dat de minister vier keer per jaar *kan* besluiten om een interventie voorwaardelijk toe te laten. Wij zijn voorstander van vier vaste beslismomenten per jaar, zowel in een top-down als bottom-up procedure.
Het Zorginstituut geeft aan dat het nodig zal een nieuw score-systeem te ontwerpen voor de beoordeling. Wij zijn benieuwd naar de criteria die het Zorginstituut daarvoor zal gebruiken.

Evaluatie zal nog even op zich laten wachten, maar het is goed op voorhand al een aantal criteria hiervoor te benoemen.

<u>Financiële middelen</u>
Nefemed constateerde eerder dat er geen financiële ruimte voor de voorwaardelijke toelating beschikbaar was. In uw brief aan de Tweede Kamer van juni 2014 werd duidelijk dat binnen het budgettair kader zorg (BZK) middelen gereserveerd zullen worden voor het instrument voorwaardelijke toelating.

In de uitvoeringstoets zien wij een aantal open einden die te maken hebben met financiering van de vergoede zorg en de kosten voor onderzoek. Op pagina 14 wordt als vanzelfsprekend aangenomen dat de industrie de benodigde studies financiert. Voor niet-commerciële partijen is subsidie via ZonMw mogelijk. Hoe verhoudt dit zich tot het beschikbaar komende budget voor de voorwaardelijke toelating? En hoe verhoudt zich dit tot de huidige praktijk waarbij een wetenschappelijke vereniging een bedrag krijgt toegekend met de opdracht om (co)sponsoren te zoeken?
Wij zijn van mening dat duidelijkheid over dit soort vragen vooraf nodig is om transparantie aan alle betrokken partijen te kunnen geven. Ons inziens dient in ieder geval de budgettaire ruimte voor voorwaardelijke toelating in enig jaar rekening te houden met de reeds aangegane verplichtingen.

<u>Tenslotte</u>
Eerder constateerden wij dat de regeling voor voorwaardelijke toelating tot het basispakket sterk gebaat zou zijn bij meer flexibiliteit, zodat de procedure beter past bij het continue proces van verbeteren van de industrie, de zorgprofessionals en de wetenschap. Alleen op die manier wordt het daadwerkelijk mogelijk om innovaties sneller beschikbaar te krijgen voor alle patiënten.

Met deze uitvoeringstoets is het ons duidelijk geworden dat de wijzigingen leiden tot nog meer bureaucratie en nog langere procedures. Dat baart ons grote zorgen.

Tot slot, innovatie is belangrijk om de toegankelijkheid, kwaliteit en betaalbaarheid van zorg te blijven waarmaken. Voorwaardelijke toelating zien wij als één van de onderdelen van de innovatieagenda om vernieuwing van zorg te ondersteunen. Uitgangspunt is daarbij de tijdige beschikbaarheid voor de patiënt. Het gesprek ook over de bredere innovatieagenda gaan wij graag aan met alle betrokkenen. Eén van de uitdagingen daarbij is dat Nederland voor bedrijven interessant moet blijven om innovatieve zorg ten behoeve van de patiënt te blijven ontwikkelen.

Met vriendelijke groet,

Roelf van Run
Directeur Nefemed

Bijlage:
- *Vragen en opmerkingen ten aanzien van de uitvoeringstoets voorwaardelijke toelating t.a.v. criteria en termijnen*
- *Nefemed Position paper Voorwaardelijke toelating van geneeskundige zorg tot het basispakket Zvw, januari 2013*

Een afschrift van deze brief wordt verzonden aan:
- *Zorginstituut Nederland*
- *Vaste Kamercommissie Volksgezondheid, Welzijn en Sport*

Bijlage:

Vragen en opmerkingen ten aanzien van de uitvoeringstoets voorwaardelijke toelating t.a.v. criteria en termijnen

4 december 2014

Duidelijke criteria

Heldere criteria dragen bij aan de voortgang van de procedure en het draagvlak voor genomen besluiten. De in de uitvoeringstoets genoemde criteria roepen de volgende vragen op:

- Primaire selectiecriteria voor voorwaardelijke toelating (p.11)
    - Criterium 2: Welke definitie en eisenpakket hanteert het Zorginstituut met betrekking tot veiligheid?
    - Criterium 6: Wat wordt verstaan onder landelijk? Sommige interventies zijn innovatief, maar voor een selecte groep patiënten bedoeld. Daarnaast wordt in Nederland aangestuurd op expert-centra. Hoe verhoudt dit tot dit criterium?
    - Criterium 7 vermeldt dat er tenminste één niet-universitair centrum moet deelnemen. Dit criterium past niet bij de praktijk waarin innovatieve medische technologie juist wordt toegepast binnen universitaire centra. Er is maar een beperkt aantal niet universitaire centra die bijvoorbeeld electrofysiologie hebben of de beschikking over een thoraxchirurg. Zo wordt topklinische zorg uitgesloten van de voorwaardelijke toelating.
    - Criterium 9: Welke kwaliteitseisen worden gesteld?
- Beoordeling van het ingediende dossier (p. 12)
  Hier ontbreken de beoordelingscriteria van de Commissie Evaluatie van Effecten & Kosten (EEK) van ZonMw. Hoe verhouden deze zich tot de eisen van het Zorginstituut?
- Voorwaarden convenant (p 13)
  Op pagina 13, punt b wordt gesproken over klinische relevantie. Dit impliceert dat altijd een RCT uitgevoerd wordt. Voor interventies waarbij gebruik wordt gemaakt van medische technologie is dit niet altijd de best passende onderzoeksmethode.
  Punt c gaat over een observationele studie. Wordt dan hier bedoeld dat er altijd twee studies worden uitgevoerd? Dit is nog onvoldoende helder in dit stuk. Per interventie dient een duidelijke keuze gemaakt te worden voor het type onderzoek.
- Eindbeoordeling VT-traject
  Wij begrijpen uit de uitvoeringstoets dat er een economische evaluatie gaat plaatsvinden bij de eindbeoordeling. Wij benadrukken dat het hierin belangrijk blijft om in een vroeg stadium overleg te voeren met de industrie om gezamenlijk nadere kaders af te spreken rondom dit traject. In de uitvoeringstoets staat niet vermeld aan welke voorwaarden de economische evaluatie dient te voldoen. Dit moet op voorhand duidelijk zijn.
- In het document wordt op pagina 17 gesproken over het inkopen van zorg door de zorgverzekeraars en de aanpassing van de DBC-codes en daaromtrent geldende procedures. Ook hier zien wij een risico op mogelijke vertragingen. Een goede registratie en herkenbaarheid van de voorwaardelijke toelating in het DOT-systeem kan mogelijke problemen voorkomen. Daarvoor is nodig dat het Zorginstituut nadrukkelijk in de procedure opneemt dat NZa/DBC-O vroeg in het traject betrokken worden.
  In de zelfde alinea staat dat zorg maar 1 keer per jaar wordt ingekocht. Als vier keer per jaar een interventie kan worden toegelaten, moet het niet zo zijn dat vervolgens gewacht moet worden op de volgende inkoopronde. Dit kan voorkomen worden door het budget voor voorwaardelijke toelating aanvullend te maken op het reguliere budget voor ziekenhuizen.

Termijnen op een rij

In het document worden op verschillende plaatsen termijnen genoemd. Deze termijnen bij elkaar opgesteld leveren het totaalbeeld op van de doorlooptijd voor dit traject. Dit is opnieuw zorgwekkend te noemen. Daarnaast roepen de termijnen nog een aantal vragen op.

- De aanvraag van een declaratiecode via DBC-O/NZa is een traject dat al gauw 9 maanden duurt, en heeft een minimal doorlooptijd van 4 maanden.
- Fase 1 VT-traject:
  Het Zorginstituut hanteert een periode van 3 maanden voor een aanvraag voor het VT-traject n.a.v. een negatieve duiding. Dit omdat de periode en misschien de bewijsvoering die er verzameld wordt anders weer veranderd kan zijn. Onze inschatting is dat deze periode te kort is ingeschat, kijkend naar de voorwaarden waaraan voldaan moet worden bij de aanvraag.
- De beoordeling van de aanvraag en het opstellen van het advies bedraagt bij de bottom-up procedure 6 maanden en bij de top-down procedure vier tot vijf maanden. Dit staat niet in verhouding tot de relatief korte termijn die de indieners hebben voor de aanvraag. Onduidelijk is vervolgens hoe lang het duurt voordat vervolgens de minister heeft besloten.
- Fase 2:
  Deze fase duurt maximaal 6 maanden. Daarna moet de minister nog beslissen. Deze termijn is onduidelijk.
- Afronding van het VT-traject:
  Op pagina 15 staat dat uiterlijk zes maanden voor het einde van het VT-traject het dossier bij het zorginstituut moet worden ingediend. Dit betekent dat er geen 4 jaar, maar 3,5 jaar beschikbaar is om de klinische studie op te zetten, alle patiënten te includeren, follow-up, monitoring, database lock, analyse, rapport, manuscript. Dit is behoorlijk ambitieus. De praktijk leert dat dit vaak niet haalbaar is.
- Het zorginstituut heeft vervolgens vier maanden nodig om een nieuw standpunt te formuleren.

De doorlooptijd van een VT-traject komt dan uit op: 4+3+6+6+4=1 jaar en 11 maanden.

Reactie van de NVZ:

Van: Harrie Kemna [mailto:H.Kemna@nvz-ziekenhuizen.nl]
Verzonden: maandag 16 maart 2015 8:16
Aan: Schelleman, mw. H.
CC: Kor Noorlag
Onderwerp: Re: bestuurlijke consultatie concept-advies voorwaardelijke toelating 2016

Geachte mevrouw Schelleman,
Dank voor toezending van het concept advies over voorwaardelijke toelating van innovaties tot het basispakket 2016. Hierbij treft u onze reactie aan op dit rapport.
Allereerst wil de NVZ opnieuw benadrukken dat het voor de ziekenhuizen van groot belang is over een regeling te beschikken die het mogelijk maakt om innovaties bekostigd te krijgen. Hierbij speelt mee dat algemene ziekenhuizen en categorale instellingen niet beschikken over een academische component, terwijl er een groot innovatiepotentieel is.
Wij hebben de indruk dat de aanvraagprocedure vorig jaar soepel is verlopen. Leden die een aanvraag hebben ingediend, hebben ons laten weten tevreden te zijn over het verloop van het proces.
Wij blijven kritisch over de totale besluitvormingsprocedure. Die neemt nu erg veel tijd in beslag. Het traject van indienen, advisering tot en met goedkeuring en daadwerkelijke start van de innovatie duurt al gauw anderhalf jaar of langer.
Sommige innovaties die in 2014 zijn goedgekeurd zijn nog steeds niet van start gegaan. Het is kennelijk lastig om alle losse eindjes die onvermijdelijk aan een dergelijk traject vastzitten, vooraf dicht te regelen. Instellingen weten soms nu nog niet wanneer start behandeling en declaratiemogelijkheid kunnen ingaan.
Wij zijn graag bereid met u te onderzoeken op welke punten de procedure sneller of efficiënter kan verlopen.
Wij wensen u succes met het afronden van het adviestraject.

Met vriendelijke groet,

Harrie Kemna
senior beleidsadviseur

T 030 273 96 65
M 06 24 66 29 93

Oudlaan 4
Postbus 9696
3506 GR Utrecht

h.kemna@nvz-ziekenhuizen.nl
www.nvz-ziekenhuizen.nl

Zorgverzekeraars Nederland

Zorginstituut Nederland
Mevrouw dr. G. Ligtenberg
Postbus 320
1110 AH DIEMEN

Sparrenheuvel 16
Postbus 520
3700 AM ZEIST
Telefoon (030) 698 89 11
Telefax (030) 698 83 33
E-mail info@zn.nl

Contactpersoon G.H. Mellema
Doorkiesnummer (030) 698 85 70
Ons kenmerk B-15-3455-gmel1
Uw kenmerk
Datum 17 maart 2015
Onderwerp Voorwaardelijke toelating tot het basispakket 2016

Geachte mevrouw Ligtenberg,

Naar aanleiding van bovengenoemd rapport ontvangt u hierbij de reactie namens Zorgverzekeraars Nederland.

Bij de uitvoering van de regeling aangaande de voorwaardelijke toelating worden bij voortduring een aantal problemen gesignaleerd. In de reacties van de door ZiNL geconsulteerde partijen is destijds al de teleurstelling doorgegeven over de gekozen vormgeving en de beperkte mogelijkheden voor innovatieve zorg. Mede naar aanleiding van deze reacties heeft het Zorginstituut de Minister gevraagd om een andere vormgeving te overwegen, namelijk voorwaardelijke financiering buiten het pakket om, zodat de zorg gecontroleerd kan worden aangeboden en uitsluitend indien het gekoppeld is aan goedgekeurd onderzoek. Een dergelijke vormgeving vergroot de kans op succes van dit beleidsexperiment. ZN wil dat bij deze nog eens onderstrepen en zou het bijzonder waarderen als het eerder genomen besluit zou worden herzien, omdat anders de kans groot is dat de beoogde vernieuwing van zorg wordt gefrustreerd door uitvoeringsproblemen van administratieve aard. Uit ervaring blijkt dagelijks dat er veel onduidelijkheid is bij zorgverzekeraars, zorgaanbieders en bij patiënten. Het is ook moeilijk uit te leggen dat de ene patiënt in een deelnemend ziekenhuis de zorg volledig vergoed krijgt vanuit de basisverzekering, terwijl een andere patiënt diezelfde zorg niet krijgt, dan wel niet vergoed krijgt uit diezelfde basisverzekering, omdat het niet "conform de stand der wetenschap en praktijk is". Wij willen deze uitvoeringsproblematiek nadrukkelijk onder uw aandacht brengen. Misschien dat het Zorginstituut nogmaals bij het Ministerie wil aandringen op een aanpassing van de regeling, conform haar eerdere

bij het Ministerie ingebrachte standpunt, dan wel op een spoedige evaluatie van het traject in 2016 (en niet in 2017 of 2018).

Het Zorginstituut geeft aan de Minister van VWS advies om een interventie aan te wijzen als potentiële kandidaat voor voorwaardelijke toelating. Naar het idee van ZN is de procedure van indiening en toetsing sterk verbeterd. Wat betreft de onderwerpen: hoewel uiteraard wel relevant, betreffen de onderwerpen in aantal slechts een zeer beperkte patiëntengroep. Graag zouden wij zien dat toekomstige onderwerpen een grotere doelgroep betreffen, met meer impact op de dagelijkse zorgverlening.

Wij spreken verder de wens uit om voor de problematiek rond de ingangsdatum van een onderwerp voor voorwaardelijke toelating in gezamenlijkheid naar een andere oplossing te zoeken. De huidige situatie van op vier verschillende momenten per jaar onderwerpen vaststellen en bestempelen tot een aanspraak, leidt tot - ons inziens - onnodige uitvoeringsproblemen.

In de bijlage treft u verder ons meer inhoudelijk commentaar aan.

Wij danken u voor de gelegenheid die u ons geboden heeft om dit conceptrapport van commentaar te voorzien

Met vriendelijke groet,
Zorgverzekeraars Nederland

Mevrouw J.G.W. Lensink, MSc
Directeur Zorg

Bijlage(n): 1

BIJLAGE BIJ BRIEF B-15-3455-gmel1

COMMENTAARFORMULIER

Betreft	**Naam respondent**	**Werkzaam bij**	**Commentaar namens**
consultatie concept-advies voorwaardelijke toelating 2016	G.H. Mellema R.M.A. Geels	ZN Achmea	Zorgverzekeraars Nederland

paginanr	**Commentaar**
Pag 11	Als onderzoek naar zorg wordt aangemerkt: a) hoofdonderzoek naar de effectiviteit van de zorg dat door ZonMw wordt gefinancierd, en b) aanvullend landelijk observationeel onderzoek naar de zorg dat in samenwerking met het hoofdonderzoek wordt opgezet en verricht indien: 1. de verzekerde, behoudens de zorginhoudelijke criteria, niet voldoet aan de criteria voor deelname aan het hoofdonderzoek, 2. de verzekerde niet heeft deelgenomen aan het hoofdonderzoek en de inclusie voor dat hoofdonderzoek is beëindigd, of 3. de verzekerde heeft deelgenomen aan het hoofdonderzoek zonder de zorg te hebben ontvangen en de deelname aan het hoofdonderzoek voor die verzekerde is voltooid. Er ontstaat een time gap (van 6 maanden) tussen het sluiten van de gegevens verzameling en de analyse waarin de verzekerde dus niet meer instroomt in welk onderzoek dan ook. Formeel heeft de verzekerde dan dus geen recht op de verstrekking/zorg (interventie of observationeel onderzoek). Hoe wordt dat gecommuniceerd?
Pag 12	*opstellen convenant* (zie ook paragraaf 2.4.1 ev blz 14) Het is niet duidelijk of de zorgverzekeraars in de eerste oriënterende periode gehoord worden. Komt er een regeling die is uit te voeren? Paragraaf 2.4.1: Hier staan zorgverzekeraars niet bij. We moeten het wel kunnen uitvoeren. In paragraaf 2.4.2 bij punt 4 staat dat er vastgelegde afspraken zijn over het declaratieverkeer.
Pag 13	Financiële gegevens *f) beschikbaarheid van een prestatiebeschrijving (zorgactiviteit).* Dus de DOT dan wel de ZA moet discriminerend en beschikbaar zijn P13 verderop *Bij het indienen van een voorstel voor voorwaardelijke toelating kan tegelijkertijd een subsidieverzoek worden ingediend voor het onderzoeksdeel bij het programma DoelmatigheidsOnderzoek (gerichte ronde) van ZonMw. ZonMw heeft (beperkt) middelen beschikbaar gesteld voor uitvoering van het hoofdonderzoek, indien dit aantoonbaar niet uit andere bronnen gefinancierd kan worden.* Het onderscheid tussen de kosten voor het onderzoek en de kosten voor de zorg zelf moet ook voor zorgverzekeraars duidelijk zijn. Vaak loopt dit door elkaar en er wordt verondersteld dat als er een extra operatie nodig is met extra opname en verpleegdagen die zorg dus vergoed wordt. Dit valt ivm deze regeling nu wel in de aanspraak maar duidelijk moet zijn welke meerkosten ivm dit onderzoek aan de orde zijn.

Pag 18	*B. De bottom-up ronde met nu 3 voorstellen pragraaf 3.1.2* *Occipitale zenuwstimulatie in onbehandelbare chronische cluster hoofdpijn* Op zich een prima voorstel. In het verleden werd voor neurostimulatie verwezen naar het protocol Nederlandse kwaliteitssysteem. Hoe verhoudt zich deze ontwikkeling daarmee?
Pag 19	*Combinatiebehandeling van cytoreductieve chirurgie en hypertherme intraperitoneale chemotherapie (HIPEC) bij patiënten met een maagcarcinoom en synchrone buikvliesmetastasen en/of tumorpositief buikvocht* In het licht van de minimumnormen en de ontwikkeling naar concentratie van zorg hebben wij zorgen om de doorwerking van dit voornemen. Leidt dit tot meer ingrepen voor maagca? Ook in centra die nu niet aan de norm voldoen en is dit vanuit het oogpunt van goede zorg wenselijk?